

Vergaderjaar 2013–2014

29 477

Geneesmiddelenbeleid

Nr. 262

BRIEF VAN DE MINISTER VAN VOLKSGEZONDHEID, WELZIJN EN SPORT

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 14 november 2013

Met deze brief stuur ik u het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten, zoals ik dat onlangs van ZonMw heb ontvangen¹. Tevens zal ik u inlichten over mijn visie op dit plan.

Nationaal Plan Zeldzame Ziekten

Tijdens de EU-Raad van Ministers van Volksgezondheid (Luxemburg 2009) is de aanbeveling gedaan dat elke lidstaat uiterlijk in 2013 een plan of strategie beschikbaar heeft voor maatregelen op het gebied van zeldzame ziekten². Nederland heeft hiertoe reeds in februari 2012 een aanzet gegeven³.

Aan de aanbeveling lag ten grondslag dat het verzamelen en verspreiden van kennis over zeldzame ziekten en het behandelen daarvan een Europa-brede aanpak vereist. Het zelden voorkomen van deze ziekten, het beperkt aantal patiënten en de schaarste aan expertise vereist een concentratie van zorg en deskundigheid. Om hierin te voorzien faciliteert de Europese Unie een verwijfsnetwerk ten behoeve van zeldzame ziekten (*Rare Disease European Reference Networks; RD ERNs*). Via dit netwerk kan Europa-breed informatie worden uitgewisseld over onder andere diagnoses, behandelmogelijkheden en beschikbaarheid van deskundigheid. Daarbij geldt het uitgangspunt dat deskundigheid gemakkelijker reist dan de patiënt. De lidstaten zijn zelf verantwoordelijk voor het opzetten en instandhouden van hun eigen expertisenetwerk dat koppelbaar is aan het Europese netwerk. Om dit te bevorderen heeft het *European Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD)* criteria opgesteld waaraan een nationaal netwerk dient te voldoen. Het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten (NPZZ) biedt de basis voor het Nederlandse netwerk van expertisecentra.

¹ Ter inzage gelegd bij het Centraal Informatiepunt Tweede Kamer

² *Publicatieblad EU Aanbeveling van de Raad, 8 juni 2009 (2009/C151/02)*

³ *Nederlandse Strategie m.b.t. zeldzame ziekten, 29 februari 2012 GMT/IB/3096637*

Doel

Doel van het NPZZ is om aanbevelingen te doen voor activiteiten die de positie van mensen met een zeldzame ziekte verbeteren binnen het brede terrein van diagnostiek, behandeling, zorg, onderzoek en informatievoorziening.

Ik heb aan ZonMw opdracht gegeven om het opstellen van een nationaal plan te coördineren. De werkzaamheden hebben geleid tot het voorliggende plan. Een klankbordgroep samengesteld vanuit de verschillende veldpartijen, waaronder de patiëntenorganisaties, heeft de activiteiten begeleid. Ook het College voor Zorgverzekeringen en het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen maakten van deze klankbordgroep deel uit. De Nederlandse Federatie van UMC's (NFU) is geraadpleegd over de aanbevelingen specifiek op haar terrein.

Zeldzame Ziekten

Zeldzame ziekten zijn levensbedreigende of chronisch invaliderende ziekten die zo weinig voorkomen dat gecombineerde inspanningen nodig zijn om patiënten die aan deze ziekten lijden te behandelen. Concentratie van zorg en deskundigheid is nodig om de inhoudelijke zorgkwaliteit op peil te houden. Over het algemeen wordt in Europa een ziekte zeldzaam genoemd wanneer niet meer dan 5 op de 10.000 inwoners van de Europese Unie deze aandoening hebben. Op dit moment vallen naar schatting 5.000 tot 8.000 aandoeningen onder deze noemer. Ondanks het geringe voorkomen betekent dit toch nog dat naar schatting 27 a 36 miljoen Europese burgers (6 a 8% van de populatie) met een dergelijke aandoening te maken hebben of krijgen. Verondersteld wordt dat het merendeel van deze aandoeningen erfelijk is. Voorbeelden van relatief bekende zeldzame ziekten zijn taaislijmziekte (*cystic fibrosis*), hemofilie, kwaadaardige ziekten bij kinderen en verschillende vormen van stofwisselings- en spierziekten.

Naar schatting 75% van de zeldzame ziekten komt reeds voor op kindereleeftijd. 30% van de kinderen overlijdt voor het vijfde levensjaar.

Weesgeneesmiddelen

Het spreekt voor zich dat het beleid rondom de zeldzame ziekten nauw samenhangt met het weesgeneesmiddelenbeleid. Samen met de veldorganisaties zal ik de samenhang en interactie tussen beide dossiers bewaken. Daarbij is met name de afstemming en coördinatie van (Europees) wetenschappelijk onderzoek op het terrein van weesgeneesmiddelen essentieel. In mijn brief aan uw Kamer van 3 oktober 2013 inzake mijn standpunt over de ziekten van Pompe en Fabry, ben ik hierop ingegaan (Kamerstuk 29 477, nr. 260).

Visie op het plan

Het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten biedt een gedegen en uitgewerkte basis voor verdere maatregelen op het gebied van zeldzame ziekten. Ik ben dan ook van mening dat Nederland met het gereedkomen van het NPPZ op een gedegen wijze invulling heeft gegeven aan de aanbevelingen van de Raad van Ministers van Volksgezondheid.

Het plan voorziet in een breed scala van aanbevelingen op het gebied van de organisatie van de zorg, wetenschappelijk onderzoek, scholing van zorgprofessionals, beheer en beschikbaarheid van kennis over zeldzame ziekten en de regie/coördinatie van de uitvoering van het plan. De aanbevelingen zijn gericht op het veld (wetenschap, beroepsorganisaties, ziekenhuizen), patiëntenorganisaties, zorgverzekeraars en overheid. In

mijn reactie zal ik mij primair op de aanbevelingen aan het adres van de overheid richten.

Regie en coördinatie

Diverse bij de totstandkoming van het plan betrokken partijen pleiten voor een centrale coördinatie en regie van de uitvoering van het plan.

Er dient een regisseur te worden aangesteld die de primaire verantwoordelijkheid heeft voor de uitvoering en daarover aan mij rapporteert. Dit strookt met de aanbevelingen van het NPZZ.

Ik ben het eens met de stellers van het plan dat een landelijke regie noodzakelijk is. Het gaat immers om een veelheid van deelnemers en een veelheid van onderling samenhangende aanbevelingen.

Als een van de Europese Ministers van Volksgezondheid acht ik mijzelf verantwoordelijk voor het opstellen van een nationaal plan voor zeldzame ziekten. Dat betekent ook dat ik als Minister van VWS borg dat het plan daadwerkelijk wordt uitgevoerd. Gelijkertijd ben ik van mening dat het niet past bij de rol van de overheid om zelf de uitvoering ter hand te nemen. Bovendien zijn de veldpartijen beter toegerust om deze taken qua inhoud en proces uit te voeren, maar er zal derhalve wel een regisseur worden aangesteld die toeziet op de uitvoering.

Expertisecentra

Een hoofdtaak voor de uitvoering van het NPZZ is de ontwikkeling van een netwerk van expertisecentra. Deze centra bundelen kennis en deskundigheid op het gebied van zeldzame ziekten, ontwikkelen protocollen en richtlijnen, coördineren onderzoek en zorgen voor een adequate verwijzing van patiënten binnen en buiten Nederland. De centra dienen te voldoen aan de normen die de Europese Unie aan dergelijke centra stelt om compatibel te zijn met het Europese netwerk voor zeldzame ziekten (*European Reference Networks*).

Ik heb de Nederlandse Federatie van UMC's (NFU) verzocht en bereid gevonden om de regie en coördinatie van de opzet, uitvoering en onderhoud van het landelijk netwerk op zich te nemen. Nu reeds is de NFU goed ingeschoten op het dossier zeldzame ziekten. De UMC's zijn de primaire behandelcentra voor zeldzame ziekten en beschikken dienaangaande over een uitgebreid netwerk binnen en buiten het land. Op dit moment voldoen veel UMC's voor een scala van ziekten reeds in hoge mate aan de criteria voor expertisecentra zoals opgesteld door de *European Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD)*. Dit geldt bijvoorbeeld ook voor de ziekten van Pompe en Fabry.

Samen met de Europese website voor weesgeneesmiddelen en zeldzame ziekten, Orphanet, heeft de NFU een landelijke inventarisatie gemaakt van welke UMC's over welke deskundigheid beschikken voor welke zeldzame aandoeningen. Voor mij biedt deze inventarisatie voldoende basis voor het aanmerken van de expertisecentra. De aanbeveling om de expertisecentra op grond van de Wet op bijzondere medische verrichtingen (Wbmv) aan te wijzen acht ik niet nodig. Nog dit jaar zal ik samen met mijn ambtgenoot van Onderwijs, Cultuur en Wetenschap een nota aan uw Kamer sturen over de positionering van de UMC's in de zorgsector. Daarin zal ik ook de zojuist vermelde taken van de UMC's op het terrein van zeldzame ziekten vastleggen. Ook zal ik een zo volledig mogelijk overzicht geven van de expertisecentra.

Afstemming

Ten einde afstemming te onderhouden over de invoering van een landelijk netwerk van expertisecentra zal ik tweemaal jaarlijks een bijeenkomst organiseren met relevante partijen. Naast de NFU denk ik daarbij aan de Vereniging Samenwerkende Topklinische opleidingsZiekenhuizen, ZonMw en patiënten/consumentenorganisaties. Dit afstemmingsoverleg heeft tevens tot doel het signaleren van knelpunten, het monitoren van voortgang en het leveren van *input* in Europese gremia op het terrein van zeldzame ziekten (onder andere op het gebied van onderzoekscoördinatie). Het afstemmingsoverleg monitort de activiteiten, bewaakt de voortgang en rapporteert mij hierover. Tevens kan dit afstemmingsoverleg mij adviseren over te nemen maatregelen op het gebied van de aanpak van zeldzame ziekten. Daarbij kan ook het door mij gesubsidieerde Forum Biotechnologie en Genetica worden geraadpleegd.

Ik voorzie ook een taak van dit afstemmingsoverleg om de «losse» aanbevelingen van het NPZZ die primair gericht zijn op de veldpartijen te bundelen tot samenhangende actiepunten. Voorts kunnen nieuwe ontwikkelingen en initiatieven worden gesondeerd en beoordeeld.

Wetenschappelijk onderzoek en classificatie

Het NPPZ doet aanbevelingen op het gebied van de coördinatie van wetenschappelijk onderzoek omtrent zeldzame ziekten. Via ZonMw financier ik diverse projecten op het terrein van zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen, zowel in nationaal als Europees verband. Het gaat daarbij om fundamenteel en toegepast onderzoek naar de behandeling van zeldzame ziekten. Daarnaast is binnen diverse andere onderzoeksprogramma's aandacht voor zeldzame ziekten en geneesmiddelen zoals Doelmatigheidsonderzoek, Translationeel en Gentherapie en Goed Gebruik Geneesmiddelen (GGG) en het Open Programma Gezondheidsonderzoek. Internationale afstemming over onderzoek op het terrein van zeldzame ziekten vindt plaats in het overleg tussen onderzoeksinstituten en overheden binnen het netwerk van *E-Rare* (Europese Unie) en het *International Rare Diseases Research Consortium (IRDiRC)*.

Ook wordt in het NPPZ de aanbeveling gedaan om in de registratie- en informatiesystemen voor huisartsen (HIS) en ziekenhuizen (ZIS) een aparte codering voor zeldzame ziekten op te nemen. De huidige systematiek is te grofmazig om zeldzame ziekten in de registraties te herkennen. Het RIVM is op dit moment bezig om de Nederlandse editie van de internationale standaardindeling van diagnostische termen (*International Classification of Diseases and Related Health Problem*) te actualiseren. Ik zal het RIVM vragen om daarbij ook de codering voor zeldzame ziekten herkenbaar te specificeren.

Overigens wordt op Europees niveau nagedacht over het beter coördineren van de diverse registratiesystemen voor zeldzame ziekten. Nederland is daarbij betrokken ondermeer via de (VWS-)vertegenwoordiging in het *European Committee of Experts on Rare Diseases (EUCERD)*.

Overige aanbevelingen gericht op de overheid

Ten slotte doet het NPZZ nog twee specifieke aanbevelingen die mijn directe verantwoordelijkheid aangaan. De aanbeveling wordt gedaan om het bereik van de hieprikscreening periodiek te beschouwen en zonodig aan te passen. Daarover kan ik melden dat ik in 2012 aan de Gezondheidsraad opdracht heb gegeven om mij te adviseren over de samenstelling van de hieprikscreening. Ik verwacht aan het eind van dit jaar het

advies te ontvangen en zal u daarover informeren. Met betrekking tot de aanbeveling om voor zeldzame ziekten die deel uitmaken van de hielprikscreening een follow-up database voor lange termijn onderzoek te faciliteren, kan ik u mededelen dat het RIVM reeds een dergelijke voorziening heeft opgenomen in haar Neonatale Registratie Afwijkende Hielprikscreening (NEORAH).

Voorts wordt aanbevolen om de Wet medisch-wetenschappelijk onderzoek met mensen (WMO) zodanig aan te passen dat wetenschappelijk onderzoek bij wilsonbekwamen kan worden uitgevoerd.

Deze aanbeveling sluit aan bij het advies van de commissie Doek, en dus ook bij het wetsvoorstel dat ik in december 2012⁴ aan uw Kamer heb verstuurd.

Tot slot roept het NPZZ op om de Europese wetgeving ten aanzien van grensoverschrijdende zorg te implementeren. Ik kan u mededelen dat dit afgelopen oktober is gebeurd met de implementatie van de EU-richtlijn *patiëntenrechten bij grensoverschrijdende zorg*.

Concluderend

Alles overziend, ben ik van mening dat met de totstandkoming van het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten en mijn reactie hierop, een gedegen en onderbouwde invulling is gegeven aan de aanbeveling van de EU-Raad van Ministers van Volksgezondheid. Het biedt een basis voor een aanpak van zeldzame ziekten op zowel de korte als langere termijn. Ik heb er vertrouwen in dat het voorgestelde plan zal bijdragen aan het beschikbaar komen van snelle diagnostiek en adequate behandeltherapieën voor zeldzame ziekten. Voorts verwacht ik van het plan een verruiming van de bekendheid met het verschijnsel zeldzame ziekten bij artsen en andere zorgverleners.

Ik zal aan de Raad van Ministers van Volksgezondheid melden dat Nederland het plan tot voltooiing heeft gebracht. Ook zal ik uw Kamer periodiek informeren over de stand van zaken en de voortgang in de uitvoering van het plan.

De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,
E.I. Schippers

⁴ Kamerstuk 33 058, nr. 1 e.v.