

Vergaderjaar 2013–2014

**29 477**

**Geneesmiddelenbeleid**

**Nr. 278**

**LIJST VAN VRAGEN EN ANTWOORDEN**

Vastgesteld 17 maart 2014

De vaste commissie voor Volksgezondheid, Welzijn en Sport heeft een aantal vragen voorgelegd aan de Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport over de brief van 14 november 2013 inzake het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten (Kamerstuk 29 477, nr. 262).

De Minister heeft deze vragen beantwoord bij brief van 14 maart 2014. Vragen en antwoorden zijn hierna afgedrukt.

De voorzitter van de vaste commissie voor Volksgezondheid, Welzijn en Sport,  
Neppéus

De griffier van de vaste commissie voor Volksgezondheid, Welzijn en Sport,  
Teunissen

Vraag 1.

Veel zorgtaken worden verschoven naar de gemeenten die vervolgens verschillende standaarden hanteren. Hoe wordt de zorg voor mensen met een zeldzame aandoening gewaarborgd? Kan de Minister de gemeenten ondersteunen met landelijk vastgestelde standaarden?

1.

Een rol van de gemeenten bij de zorg voor patiënten met een zeldzame ziekte ligt niet voor de hand. De zorg voor deze patiënten wordt in de regel verleend vanuit gespecialiseerde instellingen die regionaal of landelijk werken. De problematiek van de aanpak van zeldzame ziekten is nu juist dat het zelfs landelijk aan deskundigheid kan ontbreken zodat deze elders in Europa moet worden aangetrokken. Daarom is ingezet op een Europese benadering.

Wel spelen de gemeenten een rol bij het meerjarige programma «Aandacht voor iedereen». Bij vraag 15 ga ik hier nader op in.

Vraag 2.

Waarom kiest de Minister voor een Europa brede aanpak, in plaats van samenwerking met de landen met de beste instellingen voor innovatie en kennis op het terrein van zeldzame ziekten, zoals de Verenigde Staten?

2.

Het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten (NPZZ) is tot stand gekomen ingevolge de aanbeveling van de EU-Raad van Ministers van Volksgezondheid (Luxemburg, 2009). Deze aanbeveling houdt in dat de lidstaten voor het eind van 2013 over een plan of strategie moeten beschikken dat als basis dient voor alle relevante maatregelen op het gebied van de aanpak van zeldzame ziekten. Het NPZZ voorziet in de uitvoering van deze aanbeveling en is op te vatten als het kader van het Nederlandse beleid inzake zeldzame ziekten. Omdat de bevoegdheden van de Europese Unie zich beperken tot de landen die van deze unie deel uitmaken, ligt de focus op de uitwisseling van kennis en deskundigheid binnen het Europees domein. Dat sluit vanzelfsprekend niet uit dat met derde landen afspraken over het delen van expertise kan worden gemaakt, zoals dat ook nu reeds in de dagelijkse praktijk gebeurt.

Vraag 3.

Is het voor de patiënten die aan een zeldzame aandoening lijden niet beter als Nederland met de beste instituten van de wereld, in plaats van de beste instituten van de EU, samenwerking zoekt?

3.

Voor mij bestaat er geen enkele twijfel over dat in Europa toonaangevende kennis voorhanden is op het gebied van de diagnose en behandeling van zeldzame aandoeningen. Veel Europese onderzoeksinstituten, academische centra en ziekenhuizen nemen een gerenommeerde plaats in binnen de wereldrangorde op het gebied van medisch en genetisch onderzoek. Nu gaat het er in de eerste plaats om dit reservoir van kennis voor alle Europese burgers te ontsluiten.

Vraag 4.

In de brief schrijft de Minister dat Nederland al ver op weg is wat betreft het maken van een nationaal plan voor zeldzame ziekten. In 2013 moesten bij voorkeur alle EU-landen een strategie hebben vastgesteld. De Minister heeft de Nederlandse strategie in 2012 aan de Kamer gestuurd. Welke EU-landen hebben inmiddels een plan gepresenteerd?

4.

Naast de brief die ik in 2012 aan de Kamer heb gestuurd, heb ik u in november 2013 het vastgestelde nationaal plan voor zeldzame ziekten en mijn reactie daarop toegestuurd. De volgende landen hebben, op grond van gegevens van EUROPLAN, een strategie voor zeldzame ziekten vastgesteld: Oostenrijk, België, Bulgarije, Cyprus, Tsjechië, Frankrijk, Duitsland, Griekenland, Ierland, Italië, Letland, Luxemburg, Nederland, Noorwegen, Portugal, Roemenië, Slowakije, Slovenië, Spanje en het Verenigd Koninkrijk.

Vraag 5.

Wat zijn de consequenties voor landen die de aanbevelingen van de Raad van Ministers van VWS over het nemen van maatregelen op het gebied van zeldzame ziekten niet of onvoldoende nakomen?

5.

Alle Europese lidstaten hebben zich aan de aanbeveling verbonden om een plan voor zeldzame ziekten te ontwikkelen. Als lidstaten dit niet doen zullen zij geen aansluiting hebben op het Europese netwerk van expertisecentra. Daardoor zullen artsen en behandelcentra uit deze landen geen of slecht toegang hebben tot elders in Europa beschikbare kennis op het gebied van zeldzame ziekten, waardoor uiteindelijk de burgers uit die landen worden benadeeld en de nationale kennisinfrastructuur achterstand oploopt. Geen enkele lidstaat wil dit risico lopen. Bovendien geldt dat de lidstaten gecommitteerd zijn aan de *EU Richtlijn betreffende de toepassing van rechten van patiënten bij grensoverschrijdende zorg*.

Vraag 6.

Kan aangegeven worden in hoeverre Nederland op dit moment voldoet aan de EUCERD- criteria? In hoeverre voldoen andere landen aan de criteria? Kan worden aangegeven welke UMC's nog niet of nog niet helemaal voldoen aan de EUCERD-normen? Wat moet er nog gebeuren om wel volledig aan de normen te voldoen?

6.

De Nederlandse Federatie voor Universitair Medische Centra (NFU) heeft in samenspraak met Orphanet, de Europees werkzame databank en voorlichtingswebsite voor zeldzame aandoeningen, een overzicht opgesteld van welke universitair medische centra (UMC's) voor welke zeldzame aandoeningen als expertisecentra in de zin van de Europese aanbeveling kunnen fungeren. Bij de samenstelling van dit overzicht heeft de NFU getoetst aan de EUCERD-uitgangspunten. Dat houdt in dat de centra die op deze lijst staan voor de daarbij vermelde aandoening(en) voldoen aan de EUCERD-uitgangspunten. Het spreekt voor zich dat het een dynamisch overzicht betreft dat regelmatig zal worden geactualiseerd aan de hand van nieuwe zeldzame aandoeningen en nieuwe expertise in de huidige of nieuwe expertisecentra.

Vraag 7.

Voor veel zeldzame ziekten is het moeilijk om de diagnose te stellen. Wel is bekend dat de meeste zeldzame ziekten (80%) een erfelijk of genetisch karakter hebben. Kan met die informatie niet meer worden gedaan in de onderzoeksfase?

7.

Dat gebeurt reeds. Alle UMC's beschikken over een klinisch-genetisch centrum waar getest kan worden op een mogelijk onderliggende erfelijke oorzaak van een aandoening of een risico daarop.

Vraag 8.

Welke verantwoordelijkheid heeft de overheid ten aanzien van de aanbevelingen die in eerste instantie gericht zijn op het veld? Welke rol kan de overheid spelen om er voor te zorgen dat de aanbevelingen daadwerkelijk worden uitgevoerd?

8.

Voor de uitvoering van de aanbevelingen die zijn gericht op het veld, zijn de veldorganisaties primair aan zet. Dan gaat het daarbij om wetenschap, beroepsorganisaties, ziekenhuizen, patiëntenorganisaties en zorgverzekeraars. Om ervoor te zorgen dat de aanbevelingen daadwerkelijk worden uitgevoerd, zal ik een halfjaarlijks overleg starten om de voortgang te bewaken en knelpunten te inventariseren. Bij stagnatie zal ik bezien op welke wijze ik dan invulling kan geven aan mijn systeemverantwoordelijkheid. Ik heb overigens een positieve indruk van de manier waarop de veldorganisaties nu al veel van de aanbevelingen hebben opgepakt.

Vraag 9.

Is kosteneffectiviteit ook een doel van het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten (NPZZ)?

9.

Het kostenaspect speelt in de zorg altijd een rol. Dat geldt ook voor de uitwerking van de aanbevelingen die in het NPZZ zijn benoemd. Gelukkig is nu juist een van de hoofdaanbevelingen om een landelijk netwerk van expertisecentra te ontwikkelen, waarvan ik veel schaalvoordelen en doelmatigheid verwacht.

Vraag 10.

Gaat het NPZZ ook onderzoeken of de beoordelingswijze van weesgeneesmiddelen door het CVZ verbeterd kan worden?

10.

Het CVZ heeft zelf al het initiatief genomen om na te gaan of de beoordelingswijze van weesgeneesmiddelen verbeterd kan worden. Daar waar nodig zal het CVZ relevante partijen erbij betrekken.

Vraag 11.

Wat is het profiel van de regisseur van het NPZZ, en op welke termijn denkt u dat deze zal worden aangesteld?

Over welke kwaliteiten moet deze persoon volgens de Minister beschikken? Is uitgebreide kennis over weesgeneesmiddelen een vereiste?

Op welke wijze en door wie zal de regie worden genomen in de uitvoering van het NPZZ?

Op welke wijze zal de regisseur aan de Minister rapporteren, en hoe wordt er voor gezorgd dat dit zodanig gebeurt dat de overheid haar verantwoordelijkheid ten aanzien van de uitvoering van het plan daadwerkelijk heeft? Welke instrumenten krijgt de regisseur om uitvoering van de aanbevelingen in het NPZZ te borgen?

11.

Ik wil op een tweeledige wijze regie- en coördinatie op de uitvoering van het plan bewerkstelligen. Voor wat betreft de opzet en het onderhoud van het landelijk netwerk heb ik de regie- en coördinatie neergelegd bij de NFU. Daarnaast en in aanvulling daarop zal ik via een breed afstemmingsoverleg voeling houden met alle partijen en organisaties die een taak hebben bij de uitvoering van het NPZZ. Ten behoeve van dit overleg ga ik een onafhankelijk voorzitter aanstellen. Deze zal mij rapporteren over voortgang en stand van zaken en mij zo nodig adviseren over te nemen

aanvullende maatregelen. Het is dus niet mijn inzet om de volledige regie bij een natuurlijk persoon neer te leggen maar het voortouw zoveel mogelijk bij de betrokken organisaties te laten. Via deze coördinatie-structuur laat ik de eigen verantwoordelijkheid van de veldorganisaties intact zonder de bestuurlijke grip op het proces te verliezen.

Vraag 12.

Waarom wordt het niet nodig geacht om de expertisecentra op grond van de WBMV aan te wijzen? Waarom is de aanbeveling om dat wel te doen gedaan en waarom wordt deze aanbeveling niet gevolgd?

12.

Zoals ik in mijn brief van november 2013 heb gemeld, acht ik het overzicht dat de NFU heeft opgesteld van welke UMC's voor welke zeldzame ziekten de aangewezen centra zijn voldoende basis bieden voor het aanmerken van de expertisecentra. Dit overzicht is bovendien afgestemd met de databank van Orphanet en met de overkoepelende patiëntenorganisatie voor zeldzame ziekten, VSOP. Ik zie geen noodzaak en ook geen meerwaarde om daarbovenop het wettelijk instrumentarium van de Wbmv te benutten. Bovendien verhoudt de systematiek van de Wbmv, die aangrijpt op verrichtingen, zich niet met het karakter van het behandel-domein van de zeldzame ziekten. Vanwege de veelheid en verscheidenheid van deze ziekten en de behandeling daarvan, kunnen lastig afgebakende, specifieke verrichtingen worden vastgesteld.

Vraag 13.

Welke criteria hanteert u bij het aanwijzen van de expertisecentra? Waarom is voor de NFU gekozen om de expertisecentra aan te wijzen, en niet voor het RIVM?

13.

In de bij vraag 12 aangevoerde brief heb ik uw Kamer gemeld dat ik niet voornemens ben om expertisecentra aan te wijzen. Het overzicht van de NFU, afgestemd met Orphanet en VSOP, biedt voor mij voldoende basis en vertrouwen dat de hierin vermelde expertisecentra in overeenstemming zijn met dat wat in de EU-aanbeveling is beoogd. Temeer, zoals gemeld bij vraag 6, de NFU bij het opstellen van dit overzicht rekening heeft gehouden met de uitgangspunten van EUCERD. Een van deze uitgangspunten is dat de dagelijkse activiteiten van de expertisecentra op het snijvlak liggen van opleiding, onderzoek en zorg. Anders dan bij de UMC's (NFU) is hiervan bij het RIVM geen sprake, waardoor het geen logische kandidaat is voor het selecteren van expertisecentra. Bovendien doet dit recht aan het uitgangspunt dat de primaire verantwoordelijkheid voor de uitvoering van het plan bij de veldorganisaties ligt.

Vraag 14.

Kunt u uitvoerig beschrijven waarom u van mening bent dat het niet past bij de rol van de overheid om zelf de uitvoering van een nationaal plan voor zeldzame ziekten ter hand te nemen?

14.

In de eerste plaats zijn de deskundigheid, ervaring, en dagelijkse behandelpraktijk in het veld te vinden en niet bij de overheid. Uitgangspunt van het Nederlands beleid is altijd geweest dat de verantwoordelijkheid voor de kwaliteit van zorg primair bij het veld ligt. Dat geldt evenzeer voor de zorg aan mensen met zeldzame aandoeningen. De overheid beschikt ook niet over de menskracht om dit soort omvangrijke exercities zelfstandig in haar volle omvang uit te voeren.

Vraag 15.

Hoe is de belangenbehartiging van de duizenden mensen met zeldzame aandoeningen in Nederland geborgd; op landelijk en gemeentelijk (sociale domein) niveau?

15.

Ten behoeve van de landelijk werkzame patiënten- en gehandicaptenorganisaties, stel ik subsidiemiddelen ter beschikking. Dit beleid is uitgewerkt in mijn brief «Bundel je kracht, samen sterk d.d. 11 mei 2011<sup>1</sup> en in het beleidskader voor subsidiëring van patiënten- en gehandicaptenorganisaties<sup>2</sup>. Pg-organisaties ontvangen financiële ondersteuning voor een tweetal taken, lotgenotencontact en informatievoorziening. Daarnaast ontvangen pg-organisaties een *voucher* met als doel gezamenlijk te kunnen bijdragen aan de werking van zorg, ondersteuning en maatschappelijke participatie. Bij mijn antwoord op vraag 16, ga ik nader op de specifieke werking in.

Daarnaast behartigt de Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties (VSOP) de gezamenlijke belangen op het terrein van de zeldzame ziekten. De VSOP is een samenwerkingsverband van ongeveer 70 patiëntenorganisaties waarvan de meeste organisaties zich richten op zeldzame en genetische aandoeningen. De VSOP is tevens initiatiefnemer van een project op het gebied van beleid, onderzoek en kwaliteit van zorg voor zeldzame aandoeningen waarbij 30 patiëntenorganisaties zijn aangesloten.

Om de belangenbehartiging voor alle burgers op lokaal niveau te bevorderen voeren de gezamenlijke cliëntenorganisaties thans het meerjarig programma «Aandacht voor iedereen» uit. Dit programma wordt door VWS gefinancierd. In dit programma krijgen Wmo-raden, lokale en regionale belangenorganisaties en cliëntenraden AWBZ, informatie en advies van de landelijke patiënten-, gehandicapten- en ouderenorganisaties en van de koepel van Wmo-raden ter voorbereiding op de decentralisatie van AWBZ-taken naar gemeenten i.v.m. de Wmo 2015. Zo kunnen zij een goede gesprekspartner zijn voor gemeenten en zorg- en welzijnsaanbieders.

Vraag 16.

Hoe verloopt de subsidieverlening aan patiëntenorganisaties voor mensen met een zeldzame ziekte, en op welke wijze vindt de verantwoording van deze subsidies plaats?

Hoe worden de subsidies beschikbaar voor belangenbehartiging van deze mensen doelmatig en effectief ingezet? Waaruit blijkt dat daarmee ook daadwerkelijk de patiënten (organisaties) betrokken zijn/worden?

16.

De subsidiemogelijkheden voor patiënten- en gehandicaptenorganisaties staan beschreven in het *Beleidskader voor subsidiëring van patiënten- en gehandicaptenorganisaties* (pg-organisaties). Dit beleidskader geldt ook voor patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen. Er wordt een instellingssubsidie (stroom 1) verstrekt aan pg-organisaties voor activiteiten op het gebied van lotgenotencontact en informatievoorziening. De subsidieverlening verloopt via een aanvraag met activiteitenplan, welke wordt getoetst aan de formele en inhoudelijke voorwaarden van het Beleidskader. Een organisatie die instellingssubsidie ontvangt, krijgt tevens een *voucher*, die kan worden ingezet ten behoeve van een project. Door middel van de projectsubsidie (stroom 2) kan subsidie worden aangevraagd voor de uitvoering van projectvoorstellen, die met inspraak van pg-organisaties worden uitgewerkt. De projecten

<sup>1</sup> Kamerstuk 29 214, nr. 59.

<sup>2</sup> Kamerstuk 29 214, nr. 60.

richten zich op thema's van zorginhoudelijke aard of richten zich op maatschappelijke participatie. Pg-organisaties hebben door middel van een *voucher* een stem in de invulling van thema's, activiteiten en uitvoering van het project. Door deze aanpak wordt de legitimiteit van belangenbehartiging van onderop versterkt. De projecten worden getrokken door één initiatiefnemer (de penvoerder) die formeel verantwoordelijk is voor het project en de uitvoering daarvan, maar moet ondersteund worden door minimaal zeven patiëntenverenigingen (de vouchergevers). De projectaanvraag wordt aan de hand van het Beleidskader beoordeeld. De voortgang van het project, zowel inhoudelijk als financieel, wordt via jaarlijkse voortgangsrapportages gevolgd. Er lopen op dit moment 18 voucherprojecten waarbij in totaal ca. 200 pg-organisaties (inclusief de zeldzame ziekten) zijn betrokken.

Ik ben van mening dat deze aanpak bijdraagt aan het versterken van de positie van de patiënt, doordat patiëntenverenigingen geprikkeld worden tot meer samenwerken en het bundelen van krachten. Op dit moment kan ik nog geen oordeel geven over de doelmatigheid en effectiviteit van de subsidies. Ik ben voornemens de subsidieregeling pg-organisaties medio 2016 te evalueren. Deze vraag zal dan aan de orde komen.

Vraag 17.

De Minister zal twee keer per jaar een afstemmingsoverleg voeren over de invoering van een landelijk netwerk van expertisecentra met relevante partijen, waaronder met de NFU, VSTZ, ZonMw en patiënten- en consumentenorganisaties. Ziet de Minister ook een rol weggelegd voor de industrie bij de implementatie van het NPZZ?

17.

De farmaceutische industrie is van belang voor de ontwikkeling van goede geneesmiddelen. Met name de ontwikkeling van de veelal dure (wees)geneesmiddelen voor zeldzame ziekten vereist een hechte samenwerking met het veld. Samen met de overheid speelt de industrie een cruciale rol om zorg voor patiënten met zeldzame aandoeningen betaalbaar te houden. Ik zie zeker betrokkenheid van de industrie bij de implementatie van het NPZZ maar kan nog geen uitspraak doen over de precieze invulling daarvan. Ik zal het afstemmingsoverleg benutten om mij hierover te adviseren.

Vraag 18.

Is twee keer in twee jaar een afstemmingsoverleg voldoende om de activiteiten te monitoren, de voortgang te bewaken en zodanig te rapporteren dat de uitvoering van het NPZZ gewaarborgd wordt?

18.

Het afstemmingsoverleg wordt tweemaal per jaar gehouden, dus niet twee keer in twee jaar.

Vanzelfsprekend is dit overleg in aanvulling op de reguliere, dagelijkse contacten die tussen de betrokken partijen, waaronder het Ministerie van VWS, bestaan. Tijdens deze overleggen wordt voortdurend de stand van zaken van tal van zaken verbandhoudende met zeldzame ziekten besproken.

Vraag 19.

Hoe verhouden afstemmingsoverleg en regisseur zich tot elkaar?

19.

Zoals aangegeven bij het antwoord op vraag 11, zal ik geen aparte regisseur aanstellen voor de uitvoering van het NPZZ. De voorzitter van het afstemmingsoverleg rapporteert aan mij over voortgang en stand van zaken.

Vraag 20.

Wanneer kan er sprake zijn van een aparte codering voor zeldzame ziekten in HIS en ZIS? Wat moet er, behalve actualisering van de standaardindeling door RIVM, precies gebeuren om zeldzame ziekten in de registratiesystemen op te nemen?

20.

Ik verwacht dat nog dit jaar een aparte codering voor zeldzame ziekten operationeel kan zijn. Het RIVM heeft hiertoe inmiddels een basis gelegd door de ziektenclassificatie van de Wereldgezondheidsorganisatie (WHO) te koppelen aan de classificatie van zeldzame ziekten door Orphanet. De verdere operationalisering zal in onderlinge afstemming door de veldorganisaties dienen te geschieden. In mijn voortgangsbrief (zie vraag 25) zal ik u nader informeren.

Vraag 21.

In hoeverre voelt u zich wel verantwoordelijk voor het slagen van een landelijk netwerk zeldzame ziekten? Welke rol neemt u op zich wanneer een dergelijk netwerk onvoldoende van de grond komt?

21.

Ik heb aan uw Kamer gemeld dat ik mijzelf verantwoordelijk acht voor het opstellen van het nationaal plan voor zeldzame ziekten en derhalve ook voor een daadwerkelijke uitvoering daarvan. De NFU is mijn eerste aanspreekpunt voor het opzetten van het landelijk netwerk. In de positioneringsnota over de UMC's die ik voor de zomer aan uw Kamer zal sturen, zullen de taken en verantwoordelijkheden op het vlak van de zeldzame ziekten worden verwoord. Mocht de ontwikkeling van het netwerk stagneren, zal ik in eerste instantie de NFU hierop aanspreken. Ik acht deze situatie echter niet waarschijnlijk omdat nu reeds de contouren van het netwerk vorm krijgen.

Vraag 22.

Welke sturing geeft de overheid aan het Nationaal Plan? Hoe is de coördinatie op dat punt – in de publieke sector – geregeld?

22.

Zie mijn antwoord op vraag 11

Vraag 23.

Hoe gaat u de vertaalslag maken van de aanbevelingen op het gebied van wetenschappelijk onderzoek naar zeldzame ziekten naar daadwerkelijk toetsbare projecten?

23.

Via de academische component faciliteer ik onderzoek door de UMC's naar zeldzame ziekten. Daarnaast stimuleer ik via ZonMw onderzoek binnen de totale kenniscyclus: van fundamenteel tot implementatieonderzoek. Ook op het terrein van zeldzame ziekten en (de ontwikkeling van) geneesmiddelen worden vanuit verschillende ZonMw programma's, zowel op nationaal als internationaal niveau, projecten gefinancierd die zijn gericht op zeldzame ziekten. De gehonoreerde projecten zijn beoordeeld op wetenschappelijke kwaliteit en relevantie door referenten en een breed samengestelde commissie. Ook worden steeds vaker patiëntenpanels ingesteld. Binnen de systematiek van ZonMw worden projectresultaten nauwgezet gevolgd, eventueel bijgestuurd en (programmabreed) geëvalueerd. Over de programma- en projectresultaten wordt verslag uitgebracht aan opdrachtgevers, zoals aan mij. Ook worden publiekssamenvattingen van alle projecten op de website gepubliceerd. Specifiek voor zeldzame ziekten zijn twee calls in voorbereiding voor 2014. Deze



zullen betrekking hebben op registratie van zeldzame ziekten en op ICT en zeldzame ziekten.

Vraag 24.

Kunt u ingaan op de constatering dat het fenomeen zeldzame ziekten in de opleiding en nascholing van artsen te weinig aan bod komt? Wat gaat u doen om dat te verbeteren?

Op welke wijze wordt het NPZZ onder de aandacht gebracht van artsen en andere zorgverleners? Op welke wijze wordt het opgenomen in het curriculum geneeskunde?

24.

De medische beroepsgroep bepaalt zelf de inhoud van het opleidingscurriculum. Als er in dat kader zinvolle overdraagbare nieuwe competenties te verwerven zijn, zullen die in het curriculum worden opgenomen. Dat geldt ook voor de nieuwe inzichten die in de omgeving van het NPZZ ontstaan. De concrete beoordeling daarvan is echter niet aan mij.

Vraag 25.

Wanneer kan de Kamer de eerste rapportage over de stand van zaken en de voortgang in de uitvoering van het NPZZ tegemoet zien?

25.

Ik streef ernaar om een eerste rapportage in het najaar van 2014 aan uw Kamer te sturen.

Vraag 26.

Hoe wilt u de zichtbaarheid van mensen met een zeldzame ziekte verbeteren?

26.

Bij het antwoord op de vragen 15 en 16 ben ik reeds ingegaan op de patiëntenvertegenwoordiging en de wijze waarop ik die ondersteun. De patiëntenverenigingen spelen een belangrijke rol bij het vergroten van de algemene bekendheid met het verschijnsel zeldzame ziekten.

Vraag 27.

Op welke wijze wordt het NPZZ gefinancierd? Hoeveel geld is hiervoor nodig, en hoeveel geld is hiervoor beschikbaar?

27.

Ik heb geen afzonderlijk budget beschikbaar voor de implementatie van het NPZZ. Het plan richt zich immers primair op het scheppen van een coördinatiestructuur van vigerende activiteiten die ik reeds via vanuit andere bronnen bekostig. Ik noem de financiering van UMC's via de academische component, het PGO-fonds, ZonMw, het RIVM en het beschikbaar stellen van ambtelijke capaciteit.

Vraag 28.

Op welke wijze en op welke termijn(en) worden de activiteiten en opbrengsten van het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten geëvalueerd?

28.

Ik sluit aan bij de Europese evaluatiecyclus ten aanzien van het effect van de nationale plannen op de aanpak van zeldzame ziekten.

Vraag 29.

Hoe reageert u op de constatering dat er te weinig wetenschappelijk onderzoek wordt gedaan naar zeldzame ziekten omdat er een tekort is aan

geld? Bent u bereid meer geld beschikbaar te stellen zowel op het gebied van medisch-wetenschappelijk als sociaal-wetenschappelijk onderzoek?

29.

Ik heb u bij het antwoord op vraag 27 gewezen op de financiële inspanningen die ik doe voor de aanpak van zeldzame ziekten. Daarbij realiseer ik me dat het nooit genoeg kan zijn voor al het onderzoek dat voor de vele vormen van zeldzame ziekten nodig is. Samen met mijn ambtgenoot van Onderwijs, Cultuur en Wetenschap weeg ik alle onderzoeksaanvragen af op mogelijkheden terzake zorgvuldig af. Vanzelfsprekend houd ik ook mijn ogen gericht op de verschillende onderzoeksprogramma's die vanuit de Europese Commissie worden gefaciliteerd. Zo zijn de zeldzame ziekten een prioriteit binnen het onderzoeks- en innovatieprogramma *Horizon 2020* van de Europese Commissie dat dit jaar start.

Vraag 30.

Kunt u uitgebreid ingaan op de financiering van de zorg voor patiënten met zeldzame ziekten? Op welke punten is het DBC-systeem hier niet op ingericht? Welke gevolgen heeft dit voor de patiënten?

30.

De bekostiging van de zorg moet in overeenstemming zijn met de (zwaarte van de) feitelijk geleverde zorg. Een belangrijk deel van de zorg voor patiënten met zeldzame ziekten is gericht op behandeling, waarvoor geldt dat de bekostiging via de DBC-systematiek loopt. Daarbij maakt het niet uit of de aandoening zeldzaam of niet zeldzaam is. In zoverre heeft de vigerende bekostigingssystematiek geen gevolgen voor patiënten met een zeldzame aandoening.

Vraag 31.

Wat onderneemt u op Europees niveau of in WHO-verband op dit onderwerp?

31.

Via VWS is Nederland vertegenwoordigd in de *European Commission Expert Group on Rare Diseases (EUCERD)*. Binnen de EUCERD worden afspraken gemaakt over het Europese beleid inzake de aanpak van zeldzame ziekten (met name over de opzet van een Europees netwerk van expertisecentra) en afstemming gezocht tussen de nationale beleidsinitiatieven van de lidstaten. Voorts is de EUCERD het belangrijkste adviescollege voor de Europese Commissie op het terrein van zeldzame ziekten. De contacten met de Wereldgezondheidsorganisatie (WHO) zijn minder omvattend en lopen veelal via het Europese netwerk.