

Vergaderjaar 2017–2018

31 765

Kwaliteit van zorg

29 477

Geneesmiddelenbeleid

Nr. 325

BRIEF VAN DE MINISTER VOOR MEDISCHE ZORG

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 18 juni 2018

Bij brief van 15 maart 2018 vraagt u naar mijn beleidsreactie op het slotadvies bij het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten. Eerder is uw Kamer bij brief van 3 april 2017 (Kamerstuk 31 765, nr. 268) op hoofdlijnen geïnformeerd. Daarin werd het belang voor netwerkvorming rondom de aangewezen expertisecentra voor zeldzame aandoeningen met name benadrukt.

Het slotadvies geeft een nadere uitwerking van het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten. Mijn ambtsvoorganger heeft hierom gevraagd ten einde meer samenhang te brengen in de veelheid van beleidsaanbevelingen. Om hieraan te voldoen heeft zij het Afstemmingsoverleg zeldzame aandoeningen als een onafhankelijke adviserende werkgroep ingesteld. Deze breed samengestelde adviesgroep werd voorgezeten door prof.dr. Marianne de Visser en ondersteund vanuit ZonMw. In haar slotadvies gaat het Afstemmingsoverleg met name in op de thema's netwerkvorming, kwaliteit, bekostiging, onderzoek en patiëntenparticipatie.

Netwerkvorming

Als hoofdaanbeveling noemt het Afstemmingsoverleg het ontwikkelen van beleid waarmee zorgcoördinatie, kennisoverdracht en onderzoek worden geconcentreerd in de door de overheid erkende expertisecentra. Via samenhangende netwerken dienen de resultaten daarvan ten nutte van patiënten met een zeldzame aandoening komen. Ik ondersteun deze aanbeveling. De expertisecentra zijn in het leven geroepen om kennis te bundelen en daarmee een meerwaarde voor patiënten te bereiken. Inmiddels is een aanzienlijk aantal centra (ca. 350) door het ministerie is erkend, verspreid over een breed veld van zeldzame aandoeningen. Deze erkenningen zijn bedoeld om de Nederlandse centra aansluiting te laten vinden bij de Europese referentienetwerken voor zeldzame aandoeningen. Dat zoveel Nederlandse centra voldoen aan de strenge Europese eisen verheugt mij en is illustratief voor het niveau dat Nederland heeft bereikt op het gebied van hooggespecialiseerde zorg. Nederland is in alle

referentienetwerken vertegenwoordigd, waarvan vijf vanuit een Nederlandse instelling worden gecoördineerd.

Tegelijkertijd is er een punt van zorg. Als het aantal expertisecentra zo groot wordt dat versnippering ontstaat, wordt het doel van kennisbundeling voorbij gestreefd. Om die reden is het ministerie met partijen in gesprek om na te gaan hoe versnippering kan worden voorkomen. Uit deze overleggen is gebleken dat er inmiddels goede initiatieven bestaan om tot meer bundeling en samenhang tussen de expertisecentra te komen. Voorbeelden daarvan zijn de samenwerkingsverbanden tussen Nederlandse expertisecentra op het gebied van endocrinologie (hormonale aandoeningen), hemofilie (zeldzame bloedafwijkingen), zeldzame spierziekten en zeldzame hartafwijkingen. Deze samenwerkingsverbanden hebben gemeenschappelijk dat wordt gewerkt met een duidelijk zorgplan waarbinnen expertisecentrum, eerstelijnszorg en gemeentelijke instanties samenwerken. Wat mij in het bijzonder aanspreekt is de ontwikkeling van websites, waarmee patiënten en zorgaanbieders snel de weg kunnen vinden binnen het voor hen relevante zorglandschap. Een goed voorbeeld zijn de websites op het gebied van zeldzame spierziekten (MS, MD, FSHB, IBM) die door de respectievelijke expertisecentra met patiëntenorganisatie Spierziekten Nederland met ondersteuning door het Innovatiefonds Zorgverzekeraars Nederland is ontwikkeld.

In samenhang daarmee voert de samenwerkingsorganisatie van patiëntenverenigingen VSOP tien pilots uit gericht op het creëren van samenwerkingsverbanden tussen de expertisecentra en de omliggende eerstelijns- en maatschappelijke zorg, gemeenten en zorgverzekeraars. Deze projecten zijn erop gericht dat expertisecentra afspraken maken met hun directe omgeving die nodig is om patiënten te ondersteunen in hun dagelijks functioneren. De zorg houdt immers niet bij de deuren van het expertisecentrum op en moet breder maatschappelijk worden ondersteund. Met deze brede benadering krijgen zorgaanbieders en patiënten een beter overzicht over het totale zorgveld waardoor zij gezamenlijk betere keuzen kunnen maken ten aanzien van behandeling en ondersteunende zorg (*shared care*). Een goed voorbeeld daarvan is de pilot rondom neurofibromatose (een zeldzame, erfelijke aandoening van huid en zenuwweefsel) waarbij het expertisecentrum nauwe banden onderhoudt met de eerstelijns en maatschappelijke zorg in de regio en met andere behandelcentra in het land. De pilots worden gefinancierd door Zorginstituut Nederland.

Er zijn dus tal van veelbelovende initiatieven waarmee het veld kennis bundelt en toegankelijk maakt. Dat past ook bij de rol die voor het zorgveld is weggelegd om zich rondom inhoudelijke kennis te organiseren en daarbinnen aan patiënten en zorgprofessionals de juiste weg te wijzen. Samen met de zorginstellingen ga ik na op welke wijze de groei naar meer samenhang tussen expertisecentra kan worden bespoedigd. Daarbij denk ik met name aan het uitdragen van bestaande goed functionerende voorbeelden. Naast de eerder genoemde initiatieven binnen het domein van de zeldzame aandoeningen, kan ook worden gedacht aan het leren van de goede ervaringen die zijn opgedaan bij de bouw van de oncologienetwerken. Ook ga ik het verlenen van erkenningen strakker koppelen aan het doel waarvoor deze worden verleend, namelijk het aansluiten bij de Europese referentienetwerken. Deze netwerken zijn tot stand gebracht om de kennisuitwisseling tussen Europese zorginstellingen over weinig voorkomende aandoeningen over de grenzen heen uit te wisselen. Een deel van de door het ministerie erkende centra heeft zich niet aangesloten bij een Europees referentienetwerk. Daarmee is voor deze centra het doel niet bereikt waarvoor ik ze heb erkend. Ik zal hierop mijn erkenningen-

beleid aanscherpen. Met deze lijn volg ik het advies van het Afstemmingsoverleg om de expertisecentra nadrukkelijk te monitoren en te evalueren met als mogelijke consequentie dat centra die niet voldoen zullen afvloeien.

Kwaliteit

Het slotadvies bij het Nationaal Plan noemt ook het belang van een landelijke en uniforme registratie van patiëntgegevens. Dit is essentieel voor wetenschappelijk onderzoek en de onderlinge uitwisseling van kennis over verschillende ziektedomeinen. Ook daar heb ik kennis genomen van interessante initiatieven. Zo is er voor zeldzame spierziekten (*CRAMP2*) een registratiesysteem ontwikkeld die uitgaat van de Landelijke Basisregistratie Ziekenhuiszorg. Zonder dat de behandelend arts extra administratieve taken hoeft uit te voeren worden de patiënten en behandelgegevens via een uniforme codering direct in het systeem opgenomen. De aanpak, die is gebaseerd op de door de Nederlandse Federatie voor Universitair Medische Centra (NFU) en Nederlandse Vereniging van Ziekenhuizen (NVZ) ontwikkelde *Dutch Hospital Database*, is volgens de ontwerpers ook geschikt om voor andere ziektedomeinen gebruikt te worden. Verder is Nederland betrokken bij projecten van de Europese Commissie gericht op het integreren en harmoniseren van registratiesystemen voor zeldzame aandoeningen (via de *joint action Rare Diseases* waarin Orphanet Nederland participeert). Ik ben verheugd dat de urgentie voor een uniforme registratie voor zeldzame aandoeningen bij het veld leeft en er gezamenlijk stappen worden gezet in de juiste richting. Vanzelfsprekend zal het totstand komen van landelijke expertisenetwerken positief bijdragen aan het ontstaan van een landelijke uniforme registratiestructuur.

Een goed registratiesysteem is ook voorwaarde voor het ontwikkelen van adequate standaarden en richtlijnen. Terecht dat het Afstemmingsoverleg het belang hiervan onderstreept. De onafhankelijke beoordelingscommissie die mij adviseert over de te verlenen erkenningen toetst op de bijdrage die het kandidaat-expertisecentrum levert aan zorgstandaarden en richtlijnen. Ook verwacht ik van de zorgverzekeraars dat zij bij hun zorginkoop rekening houden met het wel of niet werken met richtlijnen door de zorgaanbieder. De zorgverzekeraar is ook aan zet om als kwaliteitstoets na te gaan of er bij het behandeltraject van een patiënt met een zeldzame aandoening advies van een erkend expertisecentrum is ingewonnen.

Bekostiging

In het slotadvies worden aanbevelingen gedaan met betrekking tot de bekostiging van de benodigde infrastructuur. Genoemd wordt bekostiging gericht op het opzetten van landelijke netwerken, vergoeding van weesgeneesmiddelen en ondersteuning van patiëntenorganisaties. Ook wordt de overheid geadviseerd om de bekostigingssystematiek te herzien, indien deze een belemmering vormt voor de samenwerking tussen medisch specialisten en tussen de verschillende echelons.

Wat dat laatste betreft ben ik geen voorstander van aparte bekostigingssystemen uitsluitend voor de behandeling van zeldzame aandoeningen. In het algemeen vind ik dat er voor zeldzame aandoeningen zo min mogelijk afzonderlijke structuren moeten worden opgebouwd maar aansluiting moet worden gevonden bij bestaande voorzieningen. Dit geldt voor de behandeling zelf, zoveel mogelijk door reguliere instellingen vlak bij de patiënt, maar ook voor de bekostiging. De bekostiging van de diagnose en behandeling van patiënten met een zeldzame aandoening verloopt via de

gebruikelijke systematiek van diagnose behandelcombinaties (DBC's). Voorts kan in geval van universitair medische centra gebruik worden gemaakt van de zogenaamde academische component, mocht extra financiering nodig zijn.

Over de vergoeding van weesgeneesmiddelen heeft het Zorginstituut in haar rapport «Pakketbeheer weesgeneesmiddelen» van oktober 2015 (bijlage bij Kamerstuk 34 300 XVI, nr. 150) bekeken of er redenen zijn om af te wijken van de toepassing van de voorwaarden voor toelating tot het basispakket en bekostiging uit de Zorgverzekeringswet (noodzakelijkheid, effectiviteit, kosteneffectiviteit en uitvoerbaarheid) bij het beoordelen van vergoeding van weesgeneesmiddelen. Het Zorginstituut kwam hierbij tot de conclusie dat vanwege de vaak hoge en ondoorzichtige prijsstelling van weesgeneesmiddelen, het beperkte budget voor de gezondheidszorg en het potentiële verdringingseffect, het niet wenselijk is weesgeneesmiddelen een aparte status te geven.

Met betrekking tot geneesmiddelen specifiek gericht op zeldzame aandoeningen (weesgeneesmiddelen) adviseert het Afstemmingsoverleg om de expertisecentra te betrekken bij het voorschrijven en vergoeden daarvan. Ik maak hier een pas op de plaats. De expertisecentra zijn aangewezen in het kader van de Europese referentienetwerken en ontlenen uitsluitend hieraan hun formele positie. Een formele rol binnen het vergoedingenbeleid overreikt naar mijn oordeel deze positie. Ik volsta met de eerder door mijn ambtsvoorganger ingestelde beleidslijn waarbij de betrokken wetenschappelijke verenigingen het Zorginstituut adviseren bij de totstandkoming van haar advies over de vergoeding van weesgeneesmiddelen. Wat betreft een rol voor de expertisecentra in het voorschrijven van weesgeneesmiddelen wijs ik graag op de mogelijkheid die het Zorginstituut heeft om een zogenaamde weesgeneesmiddelenarrangementen af te sluiten op basis van haar beleid eerder genoemde rapport «Pakketbeheer Weesgeneesmiddelen» (2015). Het doel van dergelijke weesgeneesmiddelenarrangementen is om goede afspraken te maken over doelmatige inzet en daarmee de (kosten)effectiviteit van deze vaak dure middelen te verbeteren. In deze arrangementen spelen de expertisecentra een belangrijke rol in het bewaken van deze doelmatige inzet. Eind vorig jaar heeft het Zorginstituut het eerste weesgeneesmiddelenarrangement voor Eculizumab voor de indicatie aHUS afgesloten. Ik steun het afsluiten van dergelijke arrangementen en ga het Zorginstituut verzoeken om dit instrument vaker in te zetten.

Onderzoek

Het slotadvies wijst op de diverse onderzoekstrajecten die het ministerie in de afgelopen jaren in gang heeft gezet. Zo heeft VWS in het kader van het Europese onderzoeksprogramma E-rare in totaal 42 Nederlandse onderzoeksgroepen in 32 projecten gefaciliteerd via een programmasubsidie aan ZonMw. Daarmee was een subsidiebedrag van in totaal 1,8 miljoen euro gemoeid. In het vervolg hierop heb ik ingestemd met een bekostiging van deelname van Nederlandse onderzoekers aan de Joint Transnational Call 2018 en de CoFund Call 2019, beide Europese samenwerkingsprogramma's gericht op onderzoek naar zeldzame aandoeningen. Het subsidiebedrag bedraagt 2,1 miljoen. Met deze ondersteuning is een goede basis verschaft aan de uitbreiding van de wetenschappelijke kennis in Nederland ten aanzien van de diagnose en therapie van weinig voorkomende aandoeningen. Dat is in de eerste plaats van belang voor de patiënt maar ook voor de positie en het aanzien van het Nederlandse wetenschappelijk onderzoek.

Tegelijkertijd constateert het Afstemmingsoverleg onderzoeksdomeinen uit het Nationaal Plan welke vooralsnog onderbelicht zijn gebleven. Zo heeft veel onderzoek een traditioneel medische-inhoudelijke insteek, terwijl weinig aandacht wordt besteed aan de sociaal-maatschappelijke dimensie van het leven met een zeldzame aandoening. Belangrijk, omdat voor veel zeldzame aandoeningen nog geen effectieve therapieën beschikbaar zijn en de samenleving vaak weinig bekend is met deze aandoeningen. Naast de bevindingen van het Afstemmingsoverleg zijn in de recente tijd diverse publicaties en rapporten verschenen met voorstellen voor nader onderzoek. Ik denk daarbij aan de Nationale Onderzoeksagenda Zeldzame Aandoeningen (VSOP, 2017) en het rapport «Kankerzorg in Beeld: zeldzame kanker» (IKNL, 2018). Om al deze voorstellen en plannen in elkaars perspectief te plaatsen, heb ik aan ZonMw opdracht gegeven om een overzichtelijke onderzoeksagenda te ontwerpen. Primair doel is helder te krijgen welke kennis reeds aanwezig is en welke nog nader ontwikkeld moet worden. Ik heb met ZonMw afgesproken dat de agenda nog dit jaar wordt aangeboden. Deze agenda kan als basis dienen voor prioritering van vervolgonderzoek binnen het zorgveld voor zeldzame aandoeningen. De besluitvorming over de uitvoering van deze onderzoeksagenda (inclusief de financiering daarvan) zal vervolgens separaat moeten plaatsvinden. Ik wijs er voorhand op dat de VWS-financieringsmogelijkheden beperkt zullen zijn, vanwege de inspanningen die het ministerie al verricht binnen het dossier zeldzame aandoeningen (instandhouden beoordelingsstructuur, ondersteuning onderzoeksprogramma's).

Patiëntenparticipatie

Verschillende aanbevelingen zijn gericht op het patiëntenperspectief. De inbreng van het patiëntenperspectief komt de kwaliteit van de zorg ten goede, zoals bij richtlijnen die tripartiet tot stand moeten komen. Ook dienen er volgens het slotadvies faciliterende maatregelen (training, financiering) te worden genomen om de patiëntenparticipatie te ondersteunen. Naast de steun die PGOsupport aan patiënten- en gehandicaptenorganisaties biedt, subsidieer ik de VSOP voor haar activiteiten bij de beoordeling van de expertisecentra. Dit geschiedt via de overkoepelende subsidie aan de NFU die ik voor dit doel heb uitgetrokken. De VSOP brengt op een actieve wijze de stem van de patiënt in bij het beoordelingsproces.

Concluderend

Alles overziend ben ik van mening dat belangrijke stappen zijn gezet met de invulling van het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten. Nu is het van belang om op de ingeslagen weg door te zetten. Daarbij is het in de eerste plaats nodig om te komen tot verdere samenwerking en netwerkvorming binnen het brede veld van de Nederlandse expertisecentra. Dit is nodig om nog intensiever samen te werken, kennis te genereren, het overzicht voor patiënt en zorgaanbieder te bewaren en een naadloze koppeling met de Europese referentienetwerken te bevorderen. Samen met het veld zal ik mij in de komende periode daarvoor inzetten.

De Minister voor Medische Zorg,
B.J. Bruins