



Beleidsvisie expertisecentra zeldzame aandoeningen 2022, Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport

Beleidsvisie op grond van artikel 8, eerste lid, van de Wet op bijzondere medische verrichtingen met betrekking tot Nederlandse expertisecentra voor zeldzame aandoeningen die willen deelnemen aan een Europees referentienetwerk
3 november 2022
Kenmerk 3455321-1038355-CZ

Wijzigingen ten opzichte van Beleidsvisie expertisecentra zeldzame aandoeningen

De Beleidsvisie expertisecentra zeldzame aandoeningen 2022 is de opvolger van Beleidsvisie expertisecentra zeldzame aandoeningen. De Beleidsvisie expertisecentra zeldzame aandoeningen 2022 is in zijn geheel opnieuw vastgesteld en bevat enkele wijzigingen ten opzichte van de vorige versie. In het hiernavolgende worden deze wijzigingen uiteengezet.

De definitie van "ECZA" is ter verduidelijking aangepast ten opzichte van de vorige versie van deze Beleidsvisie. Deze wijziging is aangebracht, omdat deze formulering verduidelijkt dat er meerdere ECZA's naast elkaar kunnen bestaan en niet slechts één ECZA nationaal opereert.

De definitie van "instelling" wordt gewijzigd, hieronder wordt niet langer verstaan een instelling waar hooggespecialiseerde zorg wordt geleverd voor een specifieke patiëntengroep. Deze wijziging is aangebracht, omdat deze formulering uit het Gedelegeerd Besluit voor instellingen onduidelijk is gebleken. Om aan deze definitie te voldoen dienen faciliteiten voorhanden te zijn, waarvan in het Gedelegeerd Besluit is aangegeven dat deze nodig zijn om de taak als ECZA en in het verlengde daarvan als lid van een ERN goed te kunnen vervullen¹. In de Nederlandse praktijk voldoen alleen ziekenhuizen aan deze definitie. Om die reden wordt de definitie van "instelling" hiertoe beperkt.

Een instelling kan eventueel onder vermelding van een andere organisatie, niet zijnde een instelling, een aanvraag indienen voor erkenning van een of meerdere ECZA's voor een (cluster van) zeldzame aandoening(en). De genoemde organisatie is dan nauw betrokken bij het leveren van zorg ten behoeve van een zeldzame aandoening en de expertise van deze organisatie wordt gezien als integraal onderdeel van de kandidaat ECZA. De organisatie wordt aangeduid als "samenwerkingsorganisatie". Hiertoe is eveneens een definitie opgenomen.

De definitie van "zeldzame aandoening" is verbreed ten opzichte van de vorige versie van deze Beleidsvisie. Thans wordt onder "zeldzame aandoening" ook verstaan een tumor die bij minder dan 6 op de 100.000 personen per jaar voorkomt en die vermeld staat in het classificatiesysteem Orphanet. Dit is de binnen Nederland gebruikelijke terminologie en wordt ook binnen Orphanet op deze wijze gehanteerd.

Op grond van de vorige versie van de Beleidsvisie waren er twee momenten dat een aanvrager een beschikking kon krijgen, namelijk na de ingangstoets en na de materiele toets. Dit is gewijzigd. Voor alle aanvragers wordt de ingangstoets en de materiële toets uitgevoerd alvorens de procedure wordt afgerond. Verder wordt voordat de ingangstoets wordt gestart, voor alle aanvragen per kandidaat ECZA adviezen gevraagd door het beoordelingscomité aan referenten en patiëntenorganisaties.

Bij de uitwerking van de indicatoren die als bijlage bij de Beleidsvisie zijn opgenomen, zijn aanpassingen doorgevoerd:

- In de oorspronkelijke versie van deze bijlage waren een aantal eisen opgenomen die pas per 1 januari 2023 bindend zouden zijn, omdat het op basis van de beschikbare informatie eerder nog niet mogelijk was om aan te tonen en te toetsen dat aan deze eisen werd voldaan. Deze eisen zijn nu onderdeel van de bindende eisen. Soms zijn deze eisen enigszins aangepast vanwege de uitvoerbaarheid.
- Verder stond in de vorige versie per abuis dat van eis 8, indicator 3, niet kan worden afgeweken. Dit is gecorrigeerd in deze versie. Deze wijziging werkt terug tot en met de dag dat de Beleidsvisie

¹ Bijlage II uit het Besluit 2014/286 - 2014/286/EU: Gedelegeerd Besluit van de Commissie van 10 maart 2014 tot vaststelling van de criteria en voorwaarden waaraan Europese referentienetwerken en zorgaanbieders die zich bij een Europees referentienetwerk willen aansluiten moeten voldoen.



expertisecentra zeldzame aandoeningen in werking trad. Aan deze wijziging wordt terugwerkende kracht verleend, omdat de wijziging niet belastend is voor aanvragers, maar juist in hun voordeel.

Definities

Deze beleidsvisie heeft betrekking op (kandidaat) expertisecentra voor zeldzame aandoeningen. Ten behoeve van de leesbaarheid wordt hierna een omschrijving gegeven van een aantal veel gebruikte termen:

- *beoordelingscomité*: commissie van externe experts die in opdracht van de minister adviseert over de aanvraag van een kandidaat ECZA om als ECZA te worden erkend;
- *ECZA*: expertisecentrum in Nederland voor een bepaalde zeldzame aandoening die daarvoor een erkenning heeft gekregen en dat onderdeel is van een of meerdere instellingen;
- *erkenning*: aanwijzing als bedoeld in artikel 8, tweede lid, van de wet door de Minister van een expertisecentrum in Nederland voor een bepaalde zeldzame aandoening als ECZA;
- *ERN*: Europees referentienetwerk van zorgaanbieders binnen de Europese Unie, op het gebied van zeldzame aandoeningen;
- *Gedelegeerd besluit*: Gedelegeerd besluit van de Europese Commissie 2014/286 van 10 maart 2014 tot vaststelling van de criteria en voorwaarden waaraan Europese referentienetwerken en zorgaanbieders die zich bij een Europees referentienetwerk willen aansluiten, moeten voldoen (PbEU 2014, L 147);
- *instelling*: academisch ziekenhuis, algemeen ziekenhuis of categoriaal ziekenhuis die in Nederland is gevestigd;
- *kandidaat ECZA*: onderdeel van een of meerdere instellingen waarvoor de instelling een aanvraag voor een erkenning als ECZA heeft gedaan en waarvan de erkenningsprocedure nog niet is afgerond;
- *minister*: Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport;
- *Richtlijn*: Richtlijn 2011/24/EU van het Europees Parlement en de Raad van 9 maart 2011 betreffende de toepassing van de rechten van patiënten bij grensoverschrijdende gezondheidszorg (PbEU 2011, L 88);
- *samenwerkingsorganisatie*: organisatie, niet zijnde een instelling, die nauw betrokken is bij het leveren van zorg ten behoeve van een zeldzame aandoening en zonder welke de kandidaat-ECZA geen erkenning kan verkrijgen;
- *Uitvoeringsbesluit*: Uitvoeringsbesluit van de Commissie 2014/287 van 10 maart 2014 tot vaststelling van de criteria voor de oprichting en evaluatie van Europese referentienetwerken en de leden daarvan en voor de bevordering van de uitwisseling van informatie en expertise in verband met de oprichting en evaluatie van dergelijke netwerken (PbEU 2014, L 147);
- *wet*: Wet op bijzondere medische verrichtingen;
- *zeldzame aandoening*:
 1. een aandoening die minder dan 1 op de 2.000 personen heeft en die vermeld staat in het classificatiesysteem Orphanet²; of
 2. een tumor die bij minder dan 6 op de 100.000 personen per jaar voorkomt en die vermeld staat in het classificatiesysteem Orphanet³.

Inleiding

Er zijn naar schatting meer dan 1 miljoen mensen in Nederland met (een aanleg voor) een zeldzame aandoening.⁴ Het aandeel mensen met een zeldzame aandoening op de totale bevolking komt overeen met landen om ons heen, zoals Duitsland, België en Frankrijk. Door het grote aantal verschillende zeldzame aandoeningen en de kleine aantallen patiënten is het lastig om een zeldzame aandoening goed te diagnosticeren en de behandeling te verbeteren. Afzonderlijke lidstaten van de Europese Unie (EU) kunnen niet voor alle verschillende zeldzame aandoeningen eigen kenniscentra ontwikkelen door een gebrek aan expertise of door een (te) kleine groep patiënten in het eigen land. Netwerkvorming en de bundeling van expertise, kennis en ervaring binnen de EU is daarom noodzakelijk om te kunnen voldoen aan de zorgvraag van deze groep patiënten. Om die reden is in de Richtlijn bepaald dat de Europese Commissie de lidstaten ondersteunt bij het opzetten van ERN's. Een ERN geeft aan zijn taak vorm doordat de leden elkaar adviseren bij casuïstiek, kennisdeling en gegevensverzameling en het opstellen en verspreiden van zorgstandaarden en richtlijnen en het versterken van onderzoek.⁵ Ook coördineert een ERN grensoverschrijdende gezondheidszorg waarbij patiënten met een zeldzame aandoening naar andere expertisecentra binnen de EU worden doorverwezen of biologische monsters naar expertisecentra binnen de EU worden gestuurd.

² www.orpha.net

³ www.orpha.net

⁴ ZonMw Slotadvies Afstemmingsoverleg Zeldzame Ziekten, Den Haag: ZonMw, 2017.

⁵ Doelstellingen van de ERN's staan beschreven in artikel 12, tweede lid, van de Richtlijn.



In het Uitvoeringsbesluit is bepaald dat de aanvrager van een lidmaatschap van een ERN een schriftelijke verklaring moet overleggen van de lidstaat van vestiging dat de deelname aan een ERN in overeenstemming is met de nationale wet- en regelgeving van deze lidstaat. Om een dergelijke verklaring te krijgen moet een in Nederland gevestigde kandidaat ECZA op grond van artikel 8, tweede lid, van de wet, in samenhang gelezen met deze beleidsvisie, worden aangewezen als ECZA. Deze beleidsvisie bevat de eisen en procedure voor het verkrijgen van een dergelijke aanwijzing (in het vervolg wordt deze aanwijzing 'erkenning' genoemd). Een erkenning als bedoeld in deze beleidsvisie kan worden beschouwd als een schriftelijke verklaring als bedoeld in de artikelen 3, derde lid, of 8, derde lid, van het Uitvoeringsbesluit. Na het verkrijgen van een erkenning als ECZA, kan het ECZA een aanvraag indienen bij de Europese Commissie om als lid aan een ERN deel te nemen. Het Gedelegeerd besluit beschrijft vervolgens de eisen waaraan aanvragen van een lidmaatschap van een ERN in Europees verband worden getoetst.

Eisen voor het verkrijgen van een erkenning als ECZA

De minister kan op grond van artikel 8 van de wet op aanvraag van een instelling een of meer van zijn onderdelen erkennen als ECZA. De ECZA is bijvoorbeeld een ziekenhuisafdeling, aangevuld met aanbieders van technologische diensten zoals laboratoria, radiologische diensten of nucleaire geneeskunde. Een instelling kan voor verschillende van zijn onderdelen een erkenning als ECZA aanvragen, en dus beschikken over meerdere erkenningen, indien de expertises van deze onderdelen van de instelling daadwerkelijk verschillend zijn en voldoen aan de eisen van deze beleidsvisie.

De eisen zijn gebaseerd op de Richtlijn, het Gedelegeerd besluit en het Nederlandse beleid om de zorg voor patiënten met een zeldzame aandoening verder te verbeteren, zoals beschreven in de brief 'Beleid ten aanzien van (expertisecentra voor) zeldzame aandoeningen' die in januari 2021 aan de Tweede Kamer is verzonden. Om een erkenning als ECZA te krijgen, moet het kandidaat ECZA aan de eisen uit de bijlage voldoen. Dit zijn eisen op het gebied van kwaliteit van zorg, onderzoek, continuïteit, samenwerking met andere partijen, informatie en communicatie en grensoverschrijdende gezondheidszorg. In de bijlage zijn per eis indicatoren opgenomen die indiceren wanneer aan de desbetreffende eis is voldaan. Sommige indicatoren moeten aanwezig zijn om te voldoen aan de desbetreffende eis. Bij de indicatoren waar dit voor geldt is dit expliciet aangegeven in de bijlage. Andere indicatoren geven een indicatie dat aan de eis is voldaan. Ook aan deze indicatoren moet in beginsel worden voldaan. Indien het kandidaat ECZA echter voldoende en deugdelijk kan motiveren waarom dat in zijn geval niet noodzakelijk is, dan kan hiervan worden afgeweken.

Voorts zijn er eisen en criteria uit het Gedelegeerd besluit waar een instelling al aan moet voldoen in het kader van nationale wet- en regelgeving (hierna: algemene wettelijke eisen). Deze algemene wettelijke eisen zijn niet opgenomen in de bijlage en daaraan wordt ook niet getoetst door het beoordelingscomité. Dit betreft bijvoorbeeld eisen op het gebied van transparantie over de kwaliteit van zorg, klachtenprocedures en tarieven. Als er aanwijzingen zijn dat niet wordt voldaan aan deze algemene wettelijke eisen, kan de minister een aanvraag om een erkenning afwijzen.

Procedure voor het verkrijgen van een erkenning als ECZA

Hierna volgt een schematische weergave van de procedure, gevolgd door een toelichting inzake de belangrijkste actoren in de procedure.

Stap	Stap aanvraagproces	Stappen aanvraagproces
1	Indienen aanvraag tot verlening van een erkenning	De instelling dient bij de Minister een aanvraag in voor erkenning van een of meerdere ECZA's voor een (cluster van) zeldzame aandoening(en). Onderdeel van de aanvraag is dat iedere kandidaat ECZA de gegevens aanlevert die nodig zijn om te bepalen of het kandidaat ECZA aan de eisen van de ingangstoets en de beoordelingscriteria voldoet. De Minister stuurt de aanvraag door naar het beoordelingscomité met het verzoek om hem te adviseren over de vraag of wordt voldaan aan de ingangstoets en aan de eisen zoals opgenomen in de bijlage.
2	Uitbrengen adviezen door referenten en patiëntenorganisaties	Per kandidaat ECZA wordt door het beoordelingscomité aan referenten en patiëntenorganisaties gevraagd om een advies uit te brengen waarin vanuit hun expertise wordt beoordeeld of aan de eisen, opgenomen in de bijlage, wordt voldaan.
3	Ingangstoets	In deze stap toetst het beoordelingscomité per kandidaat ECZA of de aanvraag voldoet aan de eisen zoals opgenomen in deze beleidsvisie onder het kopje "Ingangstoets".
4	Materiële toets	Het beoordelingscomité neemt de uitgebrachte adviezen door de referenten en patiëntenorganisatie(s) in overweging en stelt een eigen advies op, op basis van eigen expertise en deskundigheid, waarbij getoetst wordt of het kandidaat ECZA voldoet aan de eisen, opgenomen in de bijlage bij deze beleidsvisie.



Stap	Stap aanvraagproces	Stappen aanvraagproces
5	Vaststellen en toesturen van het advies	Het beoordelingscomité stelt het advies vast. De voorzitter van het beoordelingscomité stuurt het advies aan de minister.
6	Besluitvorming erkenningen	De minister neemt een besluit op de aanvraag en stuurt dat besluit naar de aanvrager.
7	Bijwerken overzicht erkenningen	Indien de aanvraag wordt gehonoreerd, verzoekt de minister Orphanet om het overzicht van ECZA's aan op haar website aan te passen na het verstrijken van de termijn voor bezwaar en beroep.

Toelichting

1. Indienen aanvraag tot verlening van een erkenning

De instelling dient een aanvraag in bij de minister voor erkenning van een of meerdere ECZA's voor een (cluster van) zeldzame aandoening(en). De instelling maakt hierbij gebruik van een aanvraagformulier, wat ter beschikking wordt gesteld op de website van het Ministerie van VWS en de website van de Nederlandse Federatie van Universitair Medische Centra (hierna: NFU). In de aanvraag is aangegeven per kandidaat ECZA welke zeldzame aandoening(en) of clusters van zeldzame aandoening(en) de kandidaat ECZA erkenning wil en met elke codes deze aandoeningen vermeld staan in het classificatiesysteem Orphanet⁶. Per kandidaat ECZA kunnen meerdere Orphanetcodes aangegeven worden en deze hoeven niet hetzelfde niveau te hebben in de Orphanetclassificatie. Indien van toepassing vermeldt de instelling op de aanvraag per kandidaat ECZA van welke andere instellingen het een onderdeel is. De instelling vermeldt tevens op de aanvraag eventuele samenwerkingsorganisaties. De expertise van deze samenwerkingsorganisatie wordt gezien als essentieel integraal onderdeel van de kandidaat ECZA.

2. Selectie en rol referent

De referent is een zorgprofessional met inhoudelijke deskundigheid en ervaring op het gebied van de behandeling van de zeldzame aandoening waarop de aanvraag ziet of een aandoening uit dezelfde Orphanet hoofdgroep van clustering. Ten minste één referent heeft wetenschappelijk onderzoek verricht naar een aandoening uit dezelfde Orphanet clustering. De NFU draagt onafhankelijke referenten voor. Een referent ontvangt digitaal de gegevens die door de instelling m.b.t. het kandidaat ECZA zijn aangeleverd en stelt met behulp van die gegevens en zijn eigen expertise een beoordelingslijst op en stelt zijn advies op.

Selectie en rol patiëntenorganisatie

De patiëntenorganisatie is een organisatie met ervaringsdeskundigheid op het gebied van de zorg voor de zeldzame aandoening waarvoor een erkenning als ECZA is verzocht. Het betreft een organisatie van (ouders of familie van) patiënten, waarvan in ieder geval een deel van de patiënten deze aandoening zelf heeft. De VSOP – Patiëntenkoepel voor zeldzame en genetische aandoeningen (hierna: VSOP) nodigt de desbetreffende patiëntenorganisaties uit voor deelname aan de adviesprocedure. De patiëntenorganisatie ontvangt digitaal enkele door de instelling met betrekking tot het kandidaat ECZA aangeleverde gegevens, voor zover die nodig zijn t.b.v. het opstellen van het advies door de patiëntenorganisatie, en stelt desgewenst met ondersteuning vanuit de VSOP een advies op. Indien de desbetreffende patiënten (nog) niet als rechtspersoon of patiëntenorganisatie zijn georganiseerd, kunnen zij zich laten vertegenwoordigen door een andere patiëntenorganisatie.

3. Ingangstoets

In deze stap wordt getoetst of aan de volgende eisen is voldaan door het kandidaat ECZA:

- De expertise waarvoor erkenning als ECZA wordt gevraagd heeft betrekking op een of meerdere zeldzame aandoeningen, die vermeld staan in het classificatiesysteem Orphanet;
- Het kandidaat ECZA stelt integrale expertise te hebben voor een zeldzame aandoening. Een interventie of specifieke behandeling (zoals bijv. robotchirurgie) wordt niet als een zeldzame aandoening aangemerkt evenmin expertise voor een aandoening die slechts in een bepaalde leeftijdscategorie of levensfase (bv. op kinderleeftijd of tijdens een zwangerschap) zelden voorkomt;
- Het betreft een of meerdere zeldzame aandoeningen waarvoor één of meerdere onderdelen van de instelling niet al een erkenning hebben als ECZA voor de desbetreffende zeldzame aandoening op 1 of 2 hogere niveaus in de Orphanetclassificatie (bijvoorbeeld al erkenning op een overkoepelend

⁶ <https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php>



- cluster van aandoeningen waar deze aandoening(en) onder vallen);
- Het kandidaat ECZA heeft ten minste één zeldzame aandoening opgenomen dat minimaal het niveau van een ERN subthema betreft⁷.
 - Binnen één subthema van een ERN kan door een instelling slechts ten behoeve van één kandidaat ECZA erkenning worden aangevraagd.

Het niet voldoen aan bovenstaande eisen wordt vermeld in het advies van het beoordelingscomité en leidt tot een afwijzing van de aanvraag van de instelling. Dit is niet het geval voor de laatste twee eisen indien er op het moment van erkenning voor het betreffende expertisegebied geen subthema bestaat voor de betreffende ziektebeelden binnen een bestaand ERN of wanneer er nog geen ERN voor dit expertisegebied bestaat.

4. Materiële toets

In deze stap wordt getoetst of een kandidaat ECZA voldoet aan de eisen zoals beschreven in de bijlage, behorende bij deze beleidsvisie.

5. Samenstelling en werkwijze beoordelingscomité

De materiële beoordeling van de aanvragen om een kandidaat ECZA als ECZA te erkennen vereist specifieke expertise en deskundigheid op het gebied van zeldzame aandoeningen. Daarnaast bestaat de wens om een kritisch oordeel te krijgen en om een onafhankelijk advies te verkrijgen over de aanvraag om een kandidaat ECZA als ECZA te erkennen. Daartoe worden externe adviseurs ingezet die deelnemen in een beoordelingscomité. De advisering wordt verricht op basis van deze beleidsvisie en de bijbehorende bijlage.

De voorzitter van het beoordelingscomité wordt door de minister aangewezen op voordracht van het bestuur van de NFU, gehoord hebbende het advies van vertegenwoordigers van de samenwerkende topklinische ziekenhuizen, de algemene ziekenhuizen, de VSOP en Orphanet-NL. De voorzitter stelt vervolgens het beoordelingscomité samen op advies van dezelfde vertegenwoordigers en houdt daarbij rekening met een evenredige representatie uit verschillende categorieën van instellingen waar ECZA's zijn gevestigd. Dit betreft met name de universitair medische centra en de topklinische ziekenhuizen. Het beoordelingscomité omvat naast de voorzitter met inhoudelijke expertise op het terrein van zeldzame aandoeningen minimaal twee leden met algemene expertise op (clusters) van zeldzame aandoeningen, afkomstig uit de Wetenschappelijk Advies Raad en twee leden op voordracht van de VSOP, met kennis van het veld van zeldzame aandoeningen, de betreffende patiëntenorganisaties en het patiëntperspectief.

De adviezen van de referenten en patiëntenorganisaties worden naar het beoordelingscomité gestuurd. Het beoordelingscomité komt mede op basis van deze adviezen tot een gewogen, eigenstandig en gemotiveerd advies ten aanzien van de aanvraag van het kandidaat ECZA.

Het beoordelingscomité geeft in het advies per kandidaat ECZA aan of deze voor erkenning in aanmerking komt. Het beoordelingscomité geeft in het advies aan tot welke categorie het kandidaat ECZA behoort. Dit betreft één van de volgende drie categorieën:

- volledig erkennen als ECZA voor de aangevraagde (groepen van) zeldzame aandoening(en);
- deels erkennen als ECZA voor een deel van de aangevraagde (groepen van) zeldzame aandoeningen;
- niet erkennen als ECZA voor de aangevraagde (groepen van) zeldzame aandoening(en).

6. Besluitvorming erkenningen

De Minister besluit op basis van het advies van het beoordelingscomité of de aanvraag van de instelling wordt gehonoreerd en stuurt de beschikking naar de instelling. De minister kan een besluit tot erkenning weigeren als er aanwijzingen zijn dat niet wordt voldaan aan de algemene wettelijke eisen.

Verplichtingen voor een ECZA

Een ECZA neemt indien mogelijk deel aan een ERN en coördineert en adviseert indien nodig, grensoverschrijdende gezondheidszorg met aangewezen ECZA's in andere EU-landen. Het ECZA werkt binnen een ERN samen door kennis en expertise op het gebied van de zeldzame aandoening, waarvoor erkenning als ECZA is verleend, te bundelen en deze zorg blijvend te verbeteren. Het ECZA

⁷ Een ERN subthema betreft een (cluster van) zeldzame aandoening(en). Per ERN subthema is door de Orphanet NL coördinator een vertaalslag gemaakt naar de best passende Orphacode(s) indien deze niet door het ERN zelf zijn aangegeven.



draagt in dit verband bij aan het vindbaar en toegankelijk maken van reeds beschikbare informatie over de zeldzame aandoening waar zij expertise over heeft door middel van informatie voor patiënten, wetenschappelijke publicaties en onderwijs op medisch-wetenschappelijk en sociaalwetenschappelijk gebied. Daarnaast draagt het ECZA bij aan informatieverzameling om meer inzicht en kennis over de aandoening te verkrijgen. Dit alles tezamen met als doel om kwalitatief hooggespecialiseerde complexe patiëntenzorg te kunnen leveren aan patiënten met zeldzame aandoeningen.

Geldigheid en intrekking van een erkenning als ECZA

Een afgegeven erkenning vervalt van rechtswege vijf jaar na de datum van uitgifte. Daarnaast kan de minister de erkenning intrekken als de ECZA of de instelling waarvan de ECZA deel uitmaakt:

- de erkenning vrijwillig opgeeft;
- niet langer voldoet aan de eisen die in deze beleidsvisie en bijbehorende bijlage zijn gesteld. Dit kan onder meer blijken uit een evaluatie op grond van artikel 14 van het Uitvoeringsbesluit;
- indien het ECZA het lidmaatschap van het ERN heeft verloren op grond van artikel 12, eerste lid, onderdelen a, b, d, e, of f, van het Uitvoeringsbesluit; of
- niet voldoet aan de eisen en criteria uit het Gedelegeerd besluit waar de instelling aan moet voldoen in het kader van nationale wet- en regelgeving.

Met het intrekken van de erkenning wordt de ECZA ervan in kennis gesteld dat zijn deelname aan een ERN niet langer in overeenstemming is met de nationale wetgeving, hetgeen op grond van artikel 12, tweede lid, van het Uitvoeringsbesluit aan de Europese Commissie moet worden gemeld en ingevolge artikel 12, onderdeel c, van het Uitvoeringsbesluit reden kan zijn om een bestaand lidmaatschap aan een ERN te verliezen.

Inwerkingtreding en bekendmaking

De Beleidsvisie is niet van toepassing op erkenningen die zijn afgegeven voor het tijdstip van inwerkingtreding van de Beleidsvisie.

De Beleidsvisie expertisecentra zeldzame aandoeningen 2022 treedt in werking met ingang van 1 januari 2023 en werkt ten aanzien van de toepassing van eis 8, indicator 3, terug tot en met 1 februari 2021. De Beleidsvisie expertisecentra zeldzame aandoeningen 2022 wordt in de Staatscourant geplaatst.

*De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,
E.J. Kuipers*



BIJLAGE UITWERKING INDICATOREN PER EIS VOOR TOETSING ECZA

Om een erkenning als ECZA te krijgen, moet het kandidaat ECZA aan de eisen uit deze Bijlage voldoen, naast de eisen en/of verplichtingen waaraan een kandidaat ECZA moet voldoen in het kader van andere wet- en regelgeving. Eisen en criteria uit het Gedelegeerd besluit waar de instelling al aan moet voldoen in het kader van nationale wet- en regelgeving, zijn niet opgenomen in deze bijlage.

Dit document heeft als doel om per eis de indicatoren toe te lichten die gebruikt worden bij de toetsing door de beoordelingscommissie. Sommige indicatoren moeten aanwezig zijn om te voldoen aan de desbetreffende eis. Bij de indicatoren waar dit voor geldt is dit expliciet aangegeven in de bijlage. Andere indicatoren geven een indicatie dat aan de eis is voldaan. De volgende punten worden hierbij per eis besproken:

- Beschrijving van de eis;
- Welke indicatoren indiceren dat aan de eis wordt voldaan;
- Welke indicatoren in ieder geval aanwezig moeten zijn om aan te kunnen nemen dat aan de eis wordt voldaan⁸;
- Welke contra-indicatoren indiceren dat niet aan de eis wordt voldaan;

De volgende thema's worden gebruikt om de eisen te sorteren:

Eisen met betrekking tot kwaliteit van zorg	2
Eisen met betrekking tot onderzoek	4
Eisen met betrekking tot continuïteit	5
Eisen met betrekking tot samenwerking met andere partijen	6
Eisen met betrekking tot informatie en communicatie	7
Eisen met betrekking tot grensoverschrijdende gezondheidszorg	8

Eisen met betrekking tot kwaliteit van zorg

Eis 1:

Het kandidaat ECZA is, indien relevant voor de specifieke zeldzame aandoening, in staat tot het leveren van kwalitatief hooggespecialiseerde complexe patiëntenzorg op het gebied van diagnostiek, behandeling, nazorg en follow-up.

Indicatoren:

1. Het kandidaat ECZA heeft de zorg beschreven in een zorgpad dat minimaal om de 5 jaar wordt herzien. Uit het beschreven zorgpad blijkt dat het kandidaat ECZA in staat is tot het leveren van advies en – indien van toepassing voor de specifieke zeldzame aandoening – het leveren van hooggespecialiseerde complexe en meestal multidisciplinaire patiëntenzorg op het gebied van diagnostiek, behandeling, nazorg en follow-up.
2. Indien een kandidaat ECZA nog niet eerder erkenning heeft aangevraagd en verkregen en er al één of meerdere ECZA's actief zijn voor eenzelfde zeldzame aandoening of een cluster van aandoeningen waar deze specifieke aandoening onder valt, dient het kandidaat ECZA aan te tonen dat deze meerwaarde heeft ten opzichte van de reeds erkende ECZA's.
3. Het kandidaat ECZA adviseert aan, en behandelt voldoende patiënten om een bijdrage te kunnen leveren aan het verder ontwikkelen van kennis over de zeldzame aandoening en het verbeteren van de behandeling van een zeldzame aandoening. Het kandidaat ECZA moet bij een relevant percentage van het aantal bekende patiënten met de desbetreffende zeldzame aandoening in Nederland betrokken zijn in het zorgtraject (voor zover deze informatie voorhanden is). Wat een relevant percentage is, wordt onderbouwd met gegevensbronnen en dataregistraties uit Nederland en uit de ERNs.
4. Het kandidaat ECZA voldoet voor de diagnostiek en behandeling van patiënten met de zeldzame aandoening waarvoor de erkenning als ECZA wordt aangevraagd in ieder geval aan de normenkaders die hiervoor nationaal gelden, zoals de SONCOS-normen⁹ en de IGJ-normen¹⁰ en waar mogelijk ook aan de gestelde normen van de ERN¹¹.

Van de toepassing van de indicatoren 1, 2, 3 en 4 kan niet worden afgeweken.

Eis 2:

Het kandidaat ECZA levert inbreng bij ontwikkeling van zorgstandaarden en richtlijnen en werkt mee aan de verspreiding hiervan, samen met vertegenwoordigers van betrokken patiëntenorganisaties.

⁸ Van indicatoren waarbij niet is vermeld dat daarvan niet kan worden afgeweken, is gemotiveerde afwijking dus mogelijk.

⁹ <https://www.soncos.org/kwaliteit/normeringsrapport/>

¹⁰ <https://www.igj.nl/zorgsectoren/ziekenhuizen-en-klinieken/indicatoren-medisch-specialistische-zorg>

¹¹ https://ec.europa.eu/health/ern/work_en ERN specific criteria.

**Contra-indicator:**

1. Het kandidaat ECZA heeft niet bijgedragen aan een richtlijn of zorgstandaard terwijl die wel bestaat.

Eis 3:

Het kandidaat ECZA coördineert het zorgaanbod binnen de gehele keten voor de specifieke zeldzame aandoening.

Indicatoren:

1. Het kandidaat ECZA stelt in het zorgpad vast hoe het diagnostische traject is vormgegeven, welke poliklinische controles bij de verschillende disciplines standaard ingepland worden en hoe de follow up vormgegeven is.
2. In het zorgpad is opgenomen op welke manier de verschillende betrokken disciplines hun bevindingen en eventueel ingesteld beleid terugkoppelen aan de hoofdbehandelaar of casemanager. Hiervoor komt het multidisciplinair (MD) team bij elkaar in een multidisciplinair overleg (MDO). Het kandidaat ECZA geeft aan hoe vaak deze MDO's bij elkaar komen.

Van de toepassing van de indicatoren 1 en 2 kan niet worden afgeweken.

Eis 4:

Het kandidaat ECZA levert de zorg met een vaststaand MD-team.

Indicatoren:

1. Het kandidaat ECZA beschikt over de disciplines (waaronder paramedici) die nodig zijn om de zorg voor patiënten met de desbetreffende zeldzame aandoening te leveren.
2. In het zorgpad staat welke disciplines er plaatsnemen in het MD-team, waarbij de rollen van de verschillende behandelaars zijn omschreven.
3. In het zorgpad staat hoe de samenhang in de zorg is geborgd (bijv. via de hoofdbehandelaar) als de aandoening een multi-systeemaandoening is.

Van de toepassing van de indicatoren 1 en 2 kan niet worden afgeweken.

Eis 5:

Het kandidaat ECZA beschikt over een systematiek om de kwaliteit van de zorg te waarborgen.

Indicator:

1. Het kandidaat ECZA beschikt over kwaliteitsindicatoren die gebruikelijk zijn voor het betreffende ziektebeeld, indien aanwezig vanuit de ERNs, en vergelijkt indien mogelijk de uitkomsten hiervan met andere (kandidaat) ECZA's.

Eisen met betrekking tot onderzoek**Eis 6:**

Het kandidaat ECZA verricht (basaal) wetenschappelijk onderzoek op het gebied van de zeldzame aandoening waarvoor erkenning als ECZA is verzocht en publiceert hierover.

Indicatoren:

1. Het kandidaat ECZA draagt bij aan verdere kennisontwikkeling over het ontstaan en de behandeling van de aandoening. Het kandidaat ECZA toont dit aan door wetenschappelijke artikelen over het ziektebeeld bij de aanvraag tot erkenning te voegen die in een peer reviewed journal zijn gepubliceerd in de afgelopen 10 jaar.
2. Het aantal onderzoeken waar een kandidaat ECZA aan moet hebben meegewerkt is mede afhankelijkheid van de zeldzaamheid van de aandoening. Ook bij zeer zeldzame aandoeningen moet er ten minste één onderzoek worden bijgevoegd dat over de zeldzame aandoening gaat waarvoor de erkenning is aangevraagd en waarbij het kandidaat ECZA betrokken is geweest.
3. Het kandidaat ECZA heeft een grote rol in het onderzoek gespeeld en specificeert die rol in de aanvraag. Hierbij wordt ook naar participatie in clinical trials gekeken. Daarnaast moet minimaal één van de eerste drie of laatste twee auteurs van de toegevoegde wetenschappelijke artikelen geaffilieerd zijn aan het kandidaat ECZA.

Van de toepassing van de indicatoren 1 en 2 kan niet worden afgeweken.

Eisen met betrekking tot continuïteit**Eis 7:**

Het kandidaat ECZA zorgt, waar nodig, voor waarborging van de continuïteit van de zorgverstrekking op het gebied van de zeldzame aandoening waarvoor de erkenning is gevraagd, van kinderjaren, via adolescentie tot en met en gedurende de volwassen leeftijd.

**Indicator:**

1. In het zorgpad staat op welke manier de overgang van de kindzorg naar de volwassenzorg is georganiseerd.

Eis 8:

Het kandidaat ECZA draagt zorg voor de opleiding en de overdracht van kennis naar leden van het MD-team.

Indicatoren:

1. Het kandidaat ECZA borgt dat de expertise en de expertiseontwikkeling voor in ieder geval de komende vijf jaar is geborgd. In dit verband geeft het kandidaat ECZA aan op welke manier de opleiding van leden van het MD-team in de verschillende disciplines is vormgegeven.
2. Het kandidaat ECZA borgt eventuele opvolging van leden van het MD-team met zeer specialistische competenties.
3. Minstens twee specialisten in het MD-team beschikken over de specifieke expertise over de zeldzame aandoening waarvoor een erkenning als ECZA wordt gevraagd of er wordt een specialist ten behoeve van het MD-team opgeleid om de specifieke expertise te vergaren.

Van de toepassing van de indicatoren 1 en 2 kan niet worden afgeweken.

Eisen met betrekking tot samenwerking met andere partijen**Eis 9:**

Het kandidaat ECZA werkt met patiënten(organisatie(s)) samen om de kwaliteit van zorg te verbeteren.

Indicatoren:

1. Het kandidaat ECZA heeft regelmatig contact met patiëntenorganisatie (indien die aanwezig zijn) en geeft aan hoe de inbreng van deze organisaties wordt gebruikt om de kwaliteit van de zorg te verbeteren.
2. Het kandidaat ECZA betreft de inbreng van patiënten om de kwaliteit van zorg te verbeteren ook als er geen relevante patiëntenorganisatie is.

Van de toepassing van indicator 2 kan niet worden afgeweken.

Eis 10:

Het kandidaat ECZA werkt samen op het terrein van onderzoek en patiëntenzorg met andere centra in het binnen- en buitenland.

Indicatoren:

1. Het kandidaat ECZA werkt voor zover mogelijk samen met andere centra op het gebied van onderzoek en patiëntenzorg met betrekking tot de zeldzame aandoening waarvoor de erkenning is verzocht. Het ECZA toont dit aan door bij de aanvraag aan te geven met welke andere centra wordt samengewerkt.
2. Het kandidaat ECZA is aangesloten bij een nationale of internationale werkgroep of samenwerkingsverband op het gebied van de zeldzame aandoening waarvoor de erkenning is verzocht.

Eisen met betrekking tot informatie en communicatie**Eis 11:**

Het kandidaat ECZA fungeert als informatieloket en vraagbaak voor zorgverleners, patiënten en hun naasten.

Indicatoren:

1. Het kandidaat ECZA regelt de 24/7 bereikbaarheid van het kandidaat ECZA of de relevante specialist(en) voor de patiënten en dienst naasten die een behandeling ondergaan voor de desbetreffende zeldzame aandoening, indien het voor de behandeling van de aandoening relevant is om 24/7 bereikbaarheid te organiseren. In het zorgpad wordt aangegeven hoe deze 24/7 bereikbaarheid wordt gewaarborgd.
2. Het kandidaat ECZA is beschikbaar (en wordt gebruikt door andere instellingen) voor consultatie bij verdenking op en behandeling bij het desbetreffende ziektebeeld voor patiënten die (nog) niet onder behandeling zijn bij het kandidaat ECZA. Het kandidaat ECZA geeft in de aanvraag aan of, hoe en hoe vaak het wordt geconsulteerd door andere instellingen
3. Het kandidaat ECZA draagt bij aan voorlichting voor zorgverleners, patiënten en hun naasten over de (groep van) zeldzame aandoening(en) waarvoor een erkenning wordt verzocht. Het kandidaat ECZA geeft aan hoe hij hieraan bijdraagt.

Van de toepassing van de indicatoren 1, 2 en 3 kan niet worden afgeweken.



Eisen met betrekking tot grensoverschrijdende gezondheidszorg

Eis 12:

Indien een kandidaat ECZA als ECZA is erkend, dient hij in staat te zijn om deel te nemen aan een ERN en coördineert en adviseert, indien nodig, grensoverschrijdende gezondheidszorg met aangewezen expertisecentra in andere EU-landen, waarnaar patiënten of biologische monsters kunnen worden doorverwezen of doorgestuurd.

Indicatoren:

1. Het kandidaat ECZA is in staat om als ECZA een bijdrage te leveren aan internationale casuïstiek en dataregistratie en werkt op deze wijze mee aan het bundelen en verspreiden van expertise.
2. Uit monitoringoverzichten van het ERN blijkt dat het ECZA (indien aangesloten bij een ERN) heeft bijgedragen aan het ERN.¹²

Van de toepassing van indicator 2 kan niet worden afgeweken.

¹² https://ec.europa.eu/health/sites/health/files/ern/docs/continuous_monitoring_en.pdf