



Aan

Minister van VWS

Deadline: 3-7-2025

03-07-2025

nota

Rapport beleidsmatige evaluatie voorwaardelijke toelating
weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals*

TER BESLISSING

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

Opgesteld door

Datum
23 juni 2025

Kenmerk
4148174-1084876-GMT

Bijlage(n)

1. Rapport 'Beleidsmatige evaluatie van de voorwaardelijke toelating van geneesmiddelen - Van intentie naar impact'

1. Aanleiding

Het ministerie van VWS heeft het strategisch adviesbureau SiRM gevraagd de beleidsmatige evaluatie van de voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals* (VT) uit te voeren. SiRM heeft hun evaluatie op 27 juni jl. met u gedeeld.

2. Geadviseerd besluit

U wordt geadviseerd het rapport met de Kamer te delen en bijgevoegde Kamerbrief te ondertekenen. U geeft in de Kamerbrief aan dat u later dit jaar een appreciatie van de aanbevelingen met de Kamer zal delen. Naar verwachting vraagt de uitwerking van de aanbevelingen en het benodigde overleg met partijen veel tijd. Daarom is besloten het rapport nu al zonder appreciatie met de Kamer, en daarmee ook met het veld, te delen.

3. Kernpunten

Voorwaardelijke Toelating

- De procedure voor voorwaardelijke toelating (VT) van weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals* is in oktober 2019 door het Zorginstituut en het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport opgesteld en geïntroduceerd als permanente regeling. Patiënten met een vaak ernstige, zeldzame ziekte waarvoor nog geen goede behandeling is, kunnen via deze procedure in aanmerking komen voor vergoeding van en daarmee toegang tot veelbelovende geneesmiddelen, die vanwege onvoldoende bewijs nog niet voldoen aan het pakketcriterium 'de stand van de wetenschap en praktijk' (effectiviteit).
- Eén van de voorwaarden is dat het geneesmiddel is geregistreerd door het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA), met de status van weesgeneesmiddel, *conditional* of *exceptional*. Een weesgeneesmiddel is een geneesmiddel voor een zeldzame ziekte. Een *conditional* is een geneesmiddel dat een voorwaardelijke handelsvergunning heeft ontvangen van het EMA. De firma moet ondertussen meer onderzoek doen en zo meer data genereren, zodat de handelsvergunning kan worden omgezet in een definitieve handelsvergunning. Een *exceptional* is een handelsvergunning onder uitzonderlijke voorwaarden. Voor een dergelijk geneesmiddel is het niet mogelijk om nog meer onderzoek te doen en meer data te genereren. Het EMA accepteert dat voor deze geneesmiddelen er altijd enige sprake van onzekerheid zal blijven bestaan.



- Gedurende de VT wordt (aanvullend) onderzoek gedaan naar de effectiviteit van het middel, zodat aan het einde van het traject een uitspraak gedaan kan worden over opname in het basispakket. Voor de VT geldt een jaarlijks budget van circa € 36 miljoen.

Datum
23 juni 2025

Kenmerk
4148174-1084876-GMT

Samenhang VT met het Toekomstbestendig stelsel geneesmiddelen

- In het Toekomstbestendig stelsel geneesmiddelen (TSG)¹ zal, met inbreng van beroepsgroepen, andere zorgpartijen en farmaceutische bedrijven, aan een triagetafel, worden besloten welke route een geneesmiddel volgt in de toelating tot het basispakket. Eén van de routes kan bestaan uit de VT, wanneer aan de betreffende criteria wordt voldaan.

Evaluatie

- De uitvoering van de VT-procedure wordt elke twee jaar geëvalueerd door het Zorginstituut, dit is de *procesmatige* evaluatie.
- Elke vijf jaar wordt door het ministerie van VWS een *beleidsmatige* evaluatie van de VT-procedure uitgevoerd. Dit is de eerste beleidsmatige evaluatie. Deze evaluatie is gericht op de vraag of de doelstellingen van het beleid worden behaald, of het budget toereikend is om deze doelstellingen te behalen en of er andere ontwikkelingen zijn die aanleiding geven tot aanpassing van het beleid.

Belangrijkste conclusies van de evaluatie

- Deelnemers aan de evaluatie zien de VT als een gewenst instrument in het stelsel. SiRM concludeert dat de VT tot nu toe echter weinig impact had: gedurende de vijfjarige evaluatieperiode startten slechts drie VT-trajecten doordat er weinig animo bij firma's was.
- Deelnemers aan de evaluatie gaven aan dat meer geneesmiddelen voor de VT in aanmerking hadden moeten komen. Onderzoek naar het reduceren van het volume per patiënt zou volgens de meeste deelnemers geen onderdeel moeten uitmaken van de VT.

Belangrijkste aanbevelingen van de evaluatie

- Aanpassingen in de afbakening kunnen van de VT een doeltreffender instrument maken.
- VWS kan de VT verbreden naar geneesmiddelen die geen weesgeneesmiddel, *conditional* of *exceptional* zijn, in gevallen waarbij er onvoldoende prikkels voor firma's zijn om zelf het onderzoek uit te voeren.
- VWS kan overwegen de looptijd van de VT te maximeren op ~5 jaar en een alternatieve regeling op te zetten voor (ultra-wees)geneesmiddelen waarvoor het beantwoorden van de pakketvraag meer dan ~5 jaar vraagt of waar SWP op groepsniveau niet waarschijnlijk is.
- VWS kan verkennen of geneesmiddelen voor (sub-)indicaties die in toekomst nauwelijks meer zullen bestaan op een andere manier dan via de VT toegankelijk kunnen worden gemaakt.
- VWS kan de VT harmoniseren met het Orphan Drug Access Protocol (ODAP) en het Drug Access Protocol (DAP) binnen het TSG.
- Verder adviseert SiRM VWS om te verkennen of ZIN voor de VT een onderbouwd advies kan geven over de "verlaagde prijs" die voorwaarde is bij de VT en om daarvoor de *evidence gap* te hanteren als methode.

¹ Vergaderjaar 2022-2023, 29477, Nr 838



- Daarnaast heeft SiRM een aantal aanbevelingen aan VWS om de werking van de VT-regeling verbeteren.

Datum
23 juni 2025

Kenmerk
4148174-1084876-GMT

Vervolg

- In de komende periode zullen deze aanbevelingen worden bestudeerd en zal worden onderzocht of en hoe de VT aangepast kan worden zodat de juiste balans gevonden wordt tussen de beschikbaarheid van veelbelovende geneesmiddelen, de noodzaak van extra onderzoek, het bredere maatschappelijk perspectief en betaalbaarheid van de zorg, en bereidheid van firma's om hieraan mee te werken. U ontvangt hierover te zijner tijd een advies.

4. Toelichting

a. Draagvlak politiek

Vanuit de Kamer wordt soms gevraagd om een vorm van voorwaardelijke toelating van dure geneesmiddelen, tot de effectiviteit van een middel in de praktijk is getest. Het accent ligt daarbij vooral op het versnellen van beschikbaarheid². Tegelijkertijd wijst de Kamer ook regelmatig op de onhoudbaarheid van de hoge prijzen van veel geneesmiddelen. De VT komt hier (deels) aan tegemoet. Bij de VT moet over de prijs worden onderhandeld (een "sterk verlaagde prijs" is een voorwaarde bij de VT), en moet een onderzoeksvoorstel worden opgesteld en beoordeeld. Dat kost tijd. Snelle toegang zonder prijsonderhandeling zou leiden tot hogere prijzen.³

b. Draagvlak maatschappelijk en eenduidige communicatie

Deelnemers aan de evaluatie zien de VT als een gewenst instrument in het stelsel. Er is dus maatschappelijk draagvlak, al komt uit de evaluatie ook naar voren dat er tot nu toe weinig animo voor de regeling was bij firma's.

c. Arbeidsmarkteffecten zorg- en welzijnsveld

Op dit moment zijn er nog geen gevolgen voor arbeidsmarkt, zorg of welzijnsveld. Bij eventuele aanpassingen van de VT regeling zal hiermee rekening worden gehouden.

d. Gevolgen administratieve lasten

De gevolgen van eventuele aanpassing van de VT voor administratieve lasten zijn nog niet in te schatten en zullen bij de opvolging van de aanbevelingen van dit rapport worden meegenomen.

e. Financiële en personele gevolgen VWS en uitvoeringsorganisaties

De financiële en personele gevolgen van eventuele aanpassing van de VT zijn nog niet in te schatten en zullen bij de opvolging van de aanbevelingen van dit rapport worden meegenomen.

f. Juridische aspecten haalbaarheid

N.v.t.

g. Afstemming (intern, interdepartementaal en met veldpartijen)

Binnen GMT.

² Motie van het lid Bushoff, Vergaderjaar 2022–2023, 29 477, nr. 856

³ Vergaderjaar 2023–2024, 29 477, nr. 869



h. Gevolgen administratieve lasten
N.v.t.

i. Toezeggingen
N.v.t.

j. Fraudetoets
N.v.t.

Datum

23 juni 2025

Kenmerk

4148174-1084876-GMT

5. Informatie die niet openbaar gemaakt kan worden

Tot personen herleidbare gegevens zijn onleesbaar gemaakt vanwege bescherming van de persoonlijke levenssfeer.