

VAN ONZEKERHEID NAAR VERTROUWEN

HET ORPHAN TRACK FRAMEWORK VOOR DE EERLIJKE
BESCHIKBAARHEID VAN BEHANDELINGEN VOOR ZELDZAME
ZIEKTEN IN NEDERLAND

*Mede ontwikkeld door:
Empowered By Us
Alexion Nederland*

INHOUDSOPGAVE

Samenvatting.....	3
Orphan Track Framework – In één oogopslag	5
De uitdaging: waarom het huidige systeem faalt voor patiënten met zeldzame ziekten	6
Uitdagingen bij de beschikbaarheid en vergoeding van weesgeneesmiddelen	6
Huidige trajecten in Nederland	6
Tekortkomingen in het systeem.....	7
Paradigmaverschuiving – van risicodeling naar gedeelde verantwoordelijkheid	8
Gedeelde verantwoordelijkheden in de praktijk	8
Patiëntenkennis als infrastructuur	8
Orphan Track Framework – hoe het werkt	9
In één oogopslag: vertrouwensniveaus.....	9
Kerncriteria.....	9
Rollen en verantwoordelijkheden van belanghebbenden	11
Gedeeld bestuur (op principes gebaseerd)	11
Proof-of-concept.....	12
Doel.....	12
Opzet.....	12
Toepassing van resultaten	12
Conclusie en oproep tot actie	13
Orphan Track – Belangrijke vragen	14
Bijlage 1: Gedetailleerde beoordelingscriteria	16
Bijlage 2: Verklarende woordenlijst	17

Samenvatting

Patiënten met een zeldzame ziekte in Nederland ondervinden aanzienlijke vertraging bij het verkrijgen van goedgekeurde behandelingen. Terwijl behandelingen elders in Europa vergoed zijn, worden Nederlandse patiënten vaak geconfronteerd met jarenlange onzekerheid ten gevolge van langdurige procedures, vastgelopen onderhandelingen en dossiers die zich in het systeem opstapelen. Het komt steeds vaker voor dat gezinnen gebruik van crowdfunding voor zorg in het buitenland. Tegelijkertijd zijn behandelaren gefrustreerd dat patiënten die hebben bijgedragen aan klinische onderzoek, niet kunnen profiteren van de therapieën die zij hebben helpen onderzoeken

Dit is geen marginale kwestie, maar een systeemfout. Het Orphan Track Framework is gezamenlijk ontwikkeld door Empowered By Us (een organisatie die opkomt voor patiënten met zeldzame ziekten), Alexion Nederland en HTA-deskundigen, en zal in oktober 2025 worden getoetst met artsen, apothekers, patiënten, zorgverzekeraars en beleidsmakers. Het Orphan Track is ontworpen als een aanvullend traject, niet als vervanging: een patiëntgericht, beleidsmatig verankerd kader dat onzekerheid beheert door middel van gedeelde verantwoordelijkheid, dat past binnen de huidige wet- en regelgeving.

In de kern introduceert Orphan Track een op 6 criteria gebaseerd gelaagd model dat patiëntrelevantie, bewijs en gepast gebruik met elkaar verbindt. In de kern introduceert Orphan Track een op 6 criteria gebaseerd gelaagd model (HIGH, MODERATE, LOW/DEVELOP) dat patiëntrelevantie, bewijs en gepast gebruik met elkaar verbindt. Dit vervangt een systeem dat is ontworpen voor gangbare geneesmiddelen, dat effectief is in het beheersen van kosten bij grote populaties, maar structureel ongeschikt is voor zeldzame ziekten. Orphan Track biedt een framework dat tijdige beschikbaarheid mogelijk maakt met beheersbaar risico, verankerd in patiëntrelevantie.

Mandaat en beleidscontext

Het voorgestelde Orphan Track Framework biedt een gestructureerde en duurzame aanpak voor het evalueren en bekostigen van behandelingen voor (uiterst) zeldzame ziekten waarbij de onzekerheid van nature groot is. Het bouwt rechtstreeks voort op de kabinetsbrief van 2024 van voormalig minister van Volksgezondheid Fleur Agema¹. In deze brief gaf zij aanleiding tot het ontwikkelen van een versnelde procedure (fast track) voor een selecte groep geneesmiddelen. Door deze versnelling hoeven patiënten met een hoge ziektelast, die niet geholpen zijn met de beschikbare behandelingen en grote behoefte hebben aan alternatieven, niet onnodig lang te wachten op duidelijkheid over vergoeding. Het initiatief sluit ook aan bij de motie van Paulusma/Bushoff uit 2024, die snellere toegangsroutes voor weesgeneesmiddelen voorschrijft². Dit sluit aan bij de prioriteiten van de Vereniging voor Innovatieve Geneesmiddelen (VIG)³ en recente beleidsontwikkelingen, waaronder de evaluatie van voorwaardelijke toelating in 2025⁴ en de visie van het kabinet op biotechnologie 2025-2040⁵.

¹ Minister van Volksgezondheid (Fleur Agema) Brief. (4 oktober 2024). Tweede Kamer der Staten-Generaal. https://www.tweedekamer.nl/kamerstukken/brieven_regering/detail?did=2024D36824&id=2024D36824. Geraadpleegd in juli 2025

² Motie van de leden Paulusma en Bushoff. (2024, 12 juni). Tweede Kamer der Staten-Generaal. <https://www.tweedekamer.nl/kamerstukken/moties/detail?id=2024Z10302&id=2024D24327>. Geraadpleegd in juli 2025

³ Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen (VIG). (2024). VIG Visie 2024. VIG (Weesgeneesmiddelen). <https://www.weesgeneesmiddelen.nl/weesgeneesmiddelen/weesgeneesmiddelen/home/3351/VIG-Weesgeneesmiddelen-Visiedocument.pdf>. Geraadpleegd in juli 2025

⁴ ZN Protocol voor toegang tot weesgeneesmiddelen/ODAP-hervormingen. (2025). Zorgverzekeraars Nederland. <https://www.zn.nl/dossiers/orphan-drug-protocol/>. Geraadpleegd in juli 2025

⁵ Visie van het Nederlandse kabinet op biotechnologie 2025-2040. (2025). Rijksoverheid. <https://open.overheid.nl/documenten/a83e3ff3-ac9e-45be-8c8a-ace92a9e7e3e/file>. Geraadpleegd in juli 2025

Volgende stappen

Het Orphan Track Framework zal worden getoetst met beleidsmakers, behandelaren, apothekers, patiënten en zorgverzekeraars tijdens de *Policy & Perspectives* Roundtable in oktober 2025. Op basis van deze inzichten zal het worden verfijnd en gevalideerd door middel van een gezamenlijk te ontwerpen pilot in 2026, waarbij eerst de praktische haalbaarheid en nationale acceptatie worden gewaarborgd en de lessen worden meegenomen in het EU-debat.

Orphan Track biedt Nederland de kans om over te stappen van een reactief, traag systeem naar een systeem dat vanaf het begin is ontworpen met het oog op gelijkheid en inclusie.

Orphan Track Framework – In één oogopslag

Doel	Eerlijkere, duurzame en efficiënte beschikbaarheid en vergoeding van behandelingen voor patiënten met zeldzame ziekten
Focus	Behandelingen voor (uiterst) zeldzame ziekten waarbij de onzekerheid groot is maar de betrokkenheid van patiënten en experts hoog.
Kernonderdelen	Relevantie voor patiënten • Genereren van bewijs • Geschiktheid voor het systeem • Gedeelde verantwoordelijkheid
Beoordelingsmodel	Gelaagd vertrouwenssysteem: HIGH • MODERATE • LOW/DEVELOP
Resultaat	Proof-of-concept-pilot in 2026 → Eerst invoering in Nederland, vervolgens de uitkomsten delen met het Europese parlement

De uitdaging: waarom het huidige systeem faalt voor patiënten met zeldzame ziekten

"De grootste belemmering voor patiënten met zeldzame ziekten is vandaag de dag niet de wetenschap, maar het systeem."

Uitdagingen bij de beschikbaarheid en vergoeding van weesgeneesmiddelen

Weesgeneesmiddelen worden ingezet voor de behandeling van aandoeningen die minder dan 5 op de 100.000 mensen treffen (minder dan 2 op de 100.000 in uiterst zeldzame gevallen). In Nederland komt dit neer op respectievelijk minder dan 900 of 360 patiënten.⁶ Kleine populaties creëren beperkingen waar conventionele beoordelings- en vergoedingsprocessen niet op zijn ingesteld.

Voor patiënten betekent dit dat vertragingen niet alleen administratief zijn, maar ook kunnen leiden tot onomkeerbare ziekteprogressie of verlies van onafhankelijkheid. Families en behandelaren blijven in onzekerheid, ondanks dat therapieën al op Europees niveau zijn goedgekeurd.

Door de zeldzaamheid van deze ziekten zijn grootschalige gerandomiseerde studies niet haalbaar. Bewijs is vaak afkomstig van kleine cohorten, wat de onzekerheid vergroot. De huidige methoden (bijvoorbeeld GRADE) passen algemene normen toe die in deze context slecht aansluiten.

Huidige trajecten in Nederland

TRAJECT	BESCHRIJVING	IMPACT OP PATIËNTEN
WGA (regeling voor weesgeneesmiddelen)	Beheerste toegang op basis van onderhandelde overeenkomsten over gebruik en monitoring.	Vertragingen door rigide drempels en soms onrealistische kortingen.
ODAP (Orphan Drug Access Protocol)	Proefprotocol zonder wettelijke status, ontworpen om gestructureerde gegevensverzameling te ondersteunen.	Deelname zonder gegarandeerde toegang met beperkte capaciteit
VOORWAARDELIJKE TOELATING (VT)	Tijdelijke vergoeding voor maximaal zeven jaar, met herevaluatie op basis van follow-upgegevens, niet geschikt voor uiterst zeldzame aandoeningen	Vertragingen in beschikbaarheid; patiënten wachten jaren op een effectieve behandeling.

⁶ Hegger, I., & De Vries, C. (n.d.). Databank voor zeldzame aandoeningen (360110001/2007). RIVM.
<https://www.rivm.nl/bibliotheek/rapporten/360110001.pdf>. Geraadpleegd in juli 2025

SLUIS (Lock System)

Geneesmiddelen met een verwachte jaarlijkse kosten > €10 miljoen worden beoordeeld via Sluis om waarde en prijs in evenwicht te brengen.

Voor weesgeneesmiddelen duren Sluis-procedures gemiddeld ongeveer 1000 dagen, waardoor de beschikbaarheid voor patiënten wordt vertraagd.⁷

Tekortkomingen in het systeem Geen van deze routes zijn afgestemd op de realiteit van weesgeneesmiddelen:

- Dossiers worden vaak vertraagd of niet geaccepteerd, waardoor patiënten in onzekerheid verkeren.
- Prijsonderhandelingen mislukken vaak door onrealistische verwachtingen ten aanzien van kortingen.
- De voorwaarden voor vergoeding worden niet consistent toegepast, wat onzekerheid creëert.

Behandelingen worden eerst in andere landen aangeboden, terwijl Nederlandse patiënten moeten wachten. Het parlement heeft al snellere oplossingen opgelegd (motie Paulusma/Bushoff), maar er is nog geen concreet plan gepresenteerd.

Resultaat: patiënten blijven wachten, behandelaars blijven gefrustreerd omdat ze vertragingen moeten uitleggen en Nederland loopt achter op andere EU-landen wat betreft de beschikbaarheid en vergoeding van behandelingen voor patiënten met zeldzame ziekten.

⁷ Uit openbaar beschikbare brancheanalyses blijkt dat voor weesgeneesmiddelen de procedures in het kader van het Nederlandse Sluis-systeem gemiddeld ongeveer 1000 dagen in beslag nemen voordat patiënten toegang krijgen tot het geneesmiddel. (<https://www.astrazeneca.nl/geneesmiddelen/zeldzame-ziekten1.html>) Geraadpleegd in september 2025

Paradigmaverschuiving – van risicodeling naar gedeelde verantwoordelijkheid

Jarenlang stond in het debat over de beschikbaarheid en vergoeding van weesgeneesmiddelen het delen van risico's centraal, waarbij de onzekerheid werd verschoven tussen zorgverzekeraars, behandelaren/ziekenhuizen en fabrikanten.

Het Orphan Track Framework introduceert een nieuw paradigma: gedeelde verantwoordelijkheid. In plaats van risico's tussen partijen door te schuiven, nemen belanghebbenden gezamenlijk verantwoordelijkheid voor tijdige en rechtvaardige beschikbaarheid en inrichting van zorg voor patiënten met zeldzame ziekten, elk binnen hun eigen rol.

"Dit gaat niet over gelijke macht, maar over evenwichtige verantwoordelijkheid, verankerd in geduld en beleidsleiderschap."

Gedeelde verantwoordelijkheden in de praktijk

- **Patiënten** bepalen mee welke resultaten belangrijk zijn en nemen rechtstreeks deel aan het overleg.
- **Artsen en apothekers** ontwerpen en leiden behandelprotocollen, inclusief passend gebruik, om de resultaten te optimaliseren.
- **Zorgverzekeraars** houden toezicht en zetten zich in om betaalbaarheid, duurzaamheid en systeemcompatibiliteit te waarborgen.
- **VWS en ZIN** bemiddelen en waarborgen de duurzaamheid.
- **De industrie** levert op transparante wijze bewijsmateriaal onder governance.

Patiëntenkennis als infrastructuur

Patiëntenexpertise is geen symbolisch gebaar, maar infrastructuur.

- **Op individueel niveau** bepalen patiënten welke resultaten belangrijk zijn.
- **Op gemeenschapsniveau** geven patiëntenorganisaties vorm aan zorgtrajecten en leveren zij gestructureerde input.
- **Op beleidsniveau** bepalen patiëntenleiders gezamenlijk de criteria en het toezicht, waardoor de verantwoordingsplicht wordt gewaarborgd.

Door gedeelde verantwoordelijkheid en patiëntenexpertise centraal te stellen, gaat het Orphan Track verder dan transactionele risicodeling en komt het tot een structureel model voor beleidsmakers, behandelaren, zorgverzekeraars en patiënten.

Orphan Track Framework – hoe het werkt

Orphan Track Framework introduceert een gelaagd systeem dat beslissingen over beschikbaarheid en vergoeding koppelt aan de relevantie voor de patiënt, de kracht van het bewijs en passend voor het systeem. Bij zeldzame ziekten kunnen aanvullende studies jaren in beslag nemen; daarom omvat 'bewijs' hier ook gerichte praktijkinzichten die kunnen worden gegenereerd terwijl patiënten in Nederland worden behandeld.

Van principe tot mechanisme

Verantwoordelijkheid wordt gedeeld door middel van:

- Een op vertrouwen gebaseerd gelaagd systeem (groen = HIGH, oranje = MODERATE, grijs = LOW/DEVELOP), dat risicomijdende beslissingen vervangt door beslissingen die zijn gebaseerd op beschikbaarheid van bewijs en patiëntrelevantie.
- Een gezamenlijk ontworpen pilot in 2026, waarbij patiënten, behandelaren en apothekers de resultaten en protocollen vormgeven en zorgverzekeraars actief betrokken zijn om de financiële haalbaarheid en duurzaamheid te waarborgen. De resultaten zullen worden meegenomen in een besluit over invoering in 2026.

In één oogopslag: vertrouwensniveaus

Niveau	Definitie	Impact op patiënten	Systeemactie
HIGH (Groen)	Hoge betrouwbaarheid. Voldoende bewijs en resultaten.	Brede beschikbaarheid bevestigd.	Opnemen in het basispakket.
MODERATE (Oranje)	Matig vertrouwen. Bewijs veelbelovend maar onvolledig.	Beschikbaarheid onder bepaalde voorwaarden (tijdsgebonden, beperkt toepassingsgebied, gecontroleerd).	Voorwaardelijke opname met gestructureerde monitoring en aanvullende gegevensverzameling.
LOW/DEVELOP (Grijs)	Laag vertrouwen. Bewijs onduidelijk.	Beschikbaarheid onder bepaalde voorwaarden samengesteld door alle partijen samen	Gerichte gegevensverzameling of bewijs op microniveau met een gepast gebruik behandelprotocol (of weesgeneesmiddelenarrangement) .

Zie bijlage 1 voor het volledige beoordelingskader en de criteria-drempels.

Kerncriteria

De betrouwbaarheidsniveaus worden bepaald aan de hand van zes criteria die zowel de prioriteiten van de patiënt als de behoeften van het systeem weerspiegelen:

1. **Relevantie voor de patiënt** – Resultaten die samen met patiënten worden gedefinieerd.
2. **Noodzaak** – Mate van beschikbaarheid van alternatieven.
3. **Effectiviteit** –het bewijs voor zinvolle resultaten voor de patiënt.

4. **Kosteneffectiviteit** – Waarde wanneer zeldzaamheid en prioriteiten van patiënten worden meegewogen.
5. **Haalbaarheid** – op een rechtvaardige manier aan Nederlandse patiënten leveren.
6. **Budgettaire impact** – Evenredigheid van de kosten ten opzichte van de bevolking en de behoefte.

Methoden en technische details

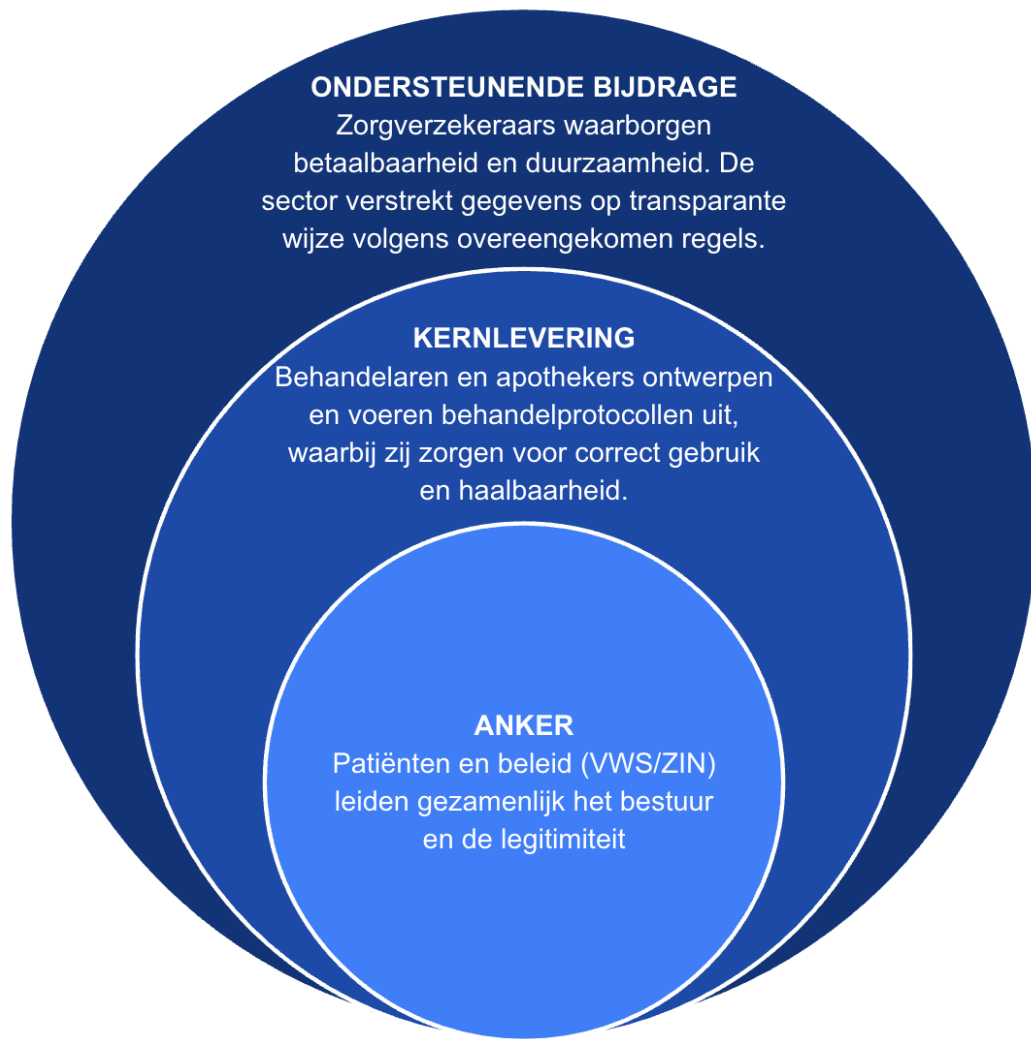
Het volledige beoordelingskader, inclusief betrouwbaarheidsniveaus, drempels en methodologische referenties, is opgenomen in bijlage 1.

Rollen en verantwoordelijkheden van belanghebbenden

Het Orphan Track Framework is afhankelijk van gedeelde verantwoordelijkheid en betrokkenheid. De opzet moet verankerd blijven in patiënten om de legitimiteit en relevantie te waarborgen, terwijl behandelaren, apothekers, zorgverzekeraars en de industrie hun expertise op welomschreven manieren inbrengen en in de praktijk brengen.

- **Patiënten:** Bepalen mee welke resultaten belangrijk zijn, verankeren de relevantie voor patiënten in de criteria en geven mede leiding aan het bestuur en het toezicht.
- **VWS en ZIN:** Bepalen drempels, en waarborgen de duurzaamheid, zodat Orphan Track in lijn blijft met de nationale beleidsprioriteiten.
- **Behandelaren en apothekers:** Ontwerpen en leiden behandelprotocollen, inclusief passend gebruik, verzamelen praktijkgegevens en zorgen voor haalbaarheid in de dagelijkse praktijk.
- **Zorgverzekeraars:** waarborgen de betaalbaarheid en duurzaamheid. In vroege pilots kunnen zij een observerende rol vervullen, maar uiteindelijk garanderen zij de financiering en verantwoord gebruik.
- **Industrie:** Levert *beschikbare wetenschappelijke* gegevens.

Gezamenlijke verantwoordelijkheid (op principes gebaseerd)



Proof-of-concept

Het Orphan Track Framework is alleen geloofwaardig als kan worden aangetoond dat het in de praktijk werkt en alle partijen hieraan kunnen en willen meewerken. Een pilot is daarom essentieel.

Doel

De pilot zal aantonen of Orphan Track in de praktijk haalbare en duurzame resultaten kan opleveren, waarmee betrokkenheid van alle partijen en de geloofwaardigheid van het kader voor nationale toepassing wordt bewezen. Omdat het binnen het huidige wettelijke kader kan worden geïmplementeerd, kan het testen beginnen zodra de belanghebbenden overeenstemming hebben bereikt over de reikwijdte en wie wat doet.

Opzet

- **Co-ontwerp:** patiënten, behandelaren en apothekers zullen gezamenlijk de reikwijdte, beoogde resultaten en protocollen vormgeven.
- **Zorgverzekeraar:** Betrokken om vanaf het begin betaalbaarheid en duurzaamheid te waarborgen.
- **Samenwerking met zorgverleners:** voortdurende samenwerking met behandelaren en apothekers vormt de basis.
- **Transparantie:** Toetredings- en uittredingsregels worden in kaart gebracht op basis van de niveaus HIGH, MODERATE, LOW/DEVELOP.

Toepassing van resultaten

- Haalbaarheid van het kader in de dagelijkse praktijk.
- Afstemming tussen relevantie voor de patiënt en klinische resultaten.
- De voorwaarden waaronder toepassing duurzaam is vastgelegd in een protocol of een weesgeneesmiddelenarrangement.

De bevindingen zullen worden gedeeld met de Tweede Kamer, VWS, ZIN en patiëntenorganisaties als een gestructureerde proof-of-concept. Ze zullen ook worden meegenomen in de Nederlandse bijdrage aan het EU-debat over rechtvaardige beschikbaarheid van behandelingen.



"De pilot is de geloofwaardigheidsbrug: deze vertaalt de principes van het kader naar tastbaar bewijs, zorgt ervoor dat Orphan Track van theorie naar nationale toepassing gaat en positioneert Nederland als koploper in het beleid inzake zeldzame ziekten op zowel nationaal als Europees niveau."

Conclusie en oproep tot actie

Orphan Track Framework biedt Nederland een duurzame en evenredige route om van vertraging en impasse naar snellere, eerlijkere beschikbaarheid en vergoeding van behandelingen voor mensen met zeldzame ziekten te komen. Het vormt een aanvulling op bestaande procedures door een systeem te corrigeren dat niet is afgestemd op de behoeften van patiënten met zeldzame ziekten. Nederland loopt al achter op andere EU-landen wat betreft de beschikbaarheid van geneesmiddelen voor zeldzame ziekten. Zonder hervormingen zal deze kloof groter worden, waardoor de positie van Nederland op het gebied van biotechnologie wordt verzwakt.

Het kader sluit direct aan bij de motie Paulusma/Bushoff (2024) voor snellere beschikbaarheid weesgeneesmiddelen, is in overeenstemming met de evaluatie van voorwaardelijke toelating (VT) in 2025 en ondersteunt de visie van het kabinet op biotechnologie 2025-2040. Samen onderstrepen deze mandaten de urgentie van het aannemen van een gestructureerde en duurzame oplossing.

Oproepen tot actie en volgende stappen



- **Oktober 2025:** Het kader onderwerpen aan een stresstest tijdens de rondetafelconferentie met beleidsmakers, behandelaren, apothekers en patiënten.
- **2026:** Lancering van een gezamenlijk ontworpen pilot (patiënten + behandelaren leiden; zorgverzekeraars observeren).
- **2026/27:** Gebruik de resultaten van de pilot om een nationaal besluit over invoering door VWS en ZIN te onderbouwen.
- **Vanaf 2027:** Resultaten delen in de EU Access Toolbox en het HTA 2028-debat, waardoor Nederland zich als koploper positioneert.

“Orphan Track verlaagt de standaarden niet; het borgt vanaf het begin gelijkwaardigheid, bewijsvoering en verantwoording in het systeem om de efficiëntie te optimaliseren.”

Orphan Track – Belangrijke vragen

Patiënten

- 1. Hoe zorgt Orphan Track Framework ervoor dat de resultaten aansluiten bij wat voor patiënten belangrijk is?**
Orphan Track Framework integreert de expertise van patiënten als infrastructuur. Patiënten bepalen mee de resultaten, organisaties geven vorm aan zorgtrajecten en patiëntenleiders nemen rechtstreeks deel aan het bestuur.
- 2. Zal dit leiden tot ongelijke toegang voor patiënten met zeldzame ziekten in vergelijking met anderen?**
Nee. Orphan Track vormt een aanvulling op bestaande procedures: het vervangt ze niet. Het zorgt voor evenredige, transparante beschikbaarheid van behandelingen voor kleine bevolkingsgroepen waar het huidige systeem tekortschiet.

Artsen en apothekers

- 3. Welke rol spelen behandelaren en apothekers?**
Zij ontwerpen en implementeren samen behandelprotocollen, verzamelen praktijkgegevens en zorgen voor de haalbaarheid in de dagelijkse praktijk.
- 4. Leidt dit tot meer administratieve rompslomp?**
Het kader stroomlijnt bestaande gefragmenteerde trajecten (WGA, ODAP, VT, Sluis) tot een pragmatisch en efficiënt traject daar waar de expertise ligt. Pilots zullen dit testen en verfijnen om onnodige duplicatie te voorkomen.

Zorgverzekeraars

- 5. Hoe wordt de betaalbaarheid gewaarborgd?**
Zorgverzekeraars worden als waarnemers bij de pilot betrokken om de duurzaamheid te waarborgen. Beslissingen worden in niveaus ingedeeld (HIGH, MODERATE, LOW/DEVELOP), zodat het risico wordt geadresseerd en de kosten in verhouding staan tot de gegevens en de behoefte.
- 6. Hoe gaat Orphan Track om met kosteneffectiviteit bij zeldzame ziekten?**
Traditionele kosteneffectiviteitsanalyses zijn vaak niet geschikt voor zeldzame en ultra-zeldzame ziekten, omdat het zeer kleine aantal patiënten leidt tot variabiliteit en ICER's die geen weerspiegeling zijn van de werkelijke waarde. In plaats daarvan past Orphan Track praktische criteria toe die rekening houden met zeldzaamheden en relevantie voor de patiënt, terwijl de betaalbaarheid en de kwaliteit van zorg door experts gewaarborgd blijft.

Beleidsmakers

- 7. Hoe verhoudt dit zich tot de kabinetsbrief van Fleur Agema en de motie van Paulusma/Bushoff?**
Orphan Track geeft invulling aan zowel de kabinetsbrief van de toenmalige minister van Volksgezondheid Fleur Agema (2024), waarin zij zich committeerde aan de ontwikkeling van een versnelde procedure voor een selecte groep geneesmiddelen, zodat patiënten met een grote on vervulde behoefte niet onnodig lang hoeven te wachten op duidelijkheid over vergoedings⁸, als aan de motie van Paulusma/Bushoff (2024)², waarin werd gepleit voor snellere toegangsroutes voor weesgeneesmiddelen. Orphan Track biedt een concreet,

⁸ Minister van Volksgezondheid Fleur Agema, Kamerbrief over geneesmiddelenbeleid (4 oktober 2024).

“Ten eerste, het inrichten van een versnelde procedure voor een selecte groep geneesmiddelen waardoor patiënten in hoge nood minder lang hoeven te wachten op duidelijkheid over vergoeding van een nieuw middel – een zogenaamde ‘Orphan track’...”

² Motie van de leden Paulusma en Bushoff. (2024, 12 juni). Tweede Kamer der Staten-Generaal.

<https://www.tweedekamer.nl/kamerstukken/moties/detail?id=2024Z10302&did=2024D24327>. Geraadpleegd in juli 2025

patiëntgericht model om deze toezeggingen in de praktijk waar te maken en is ontworpen om binnen het huidige wettelijke kader te kunnen worden geïmplementeerd.

8. ***Is dit verenigbaar met de EU-kaders?***

Ja. Het positioneert Nederland als nationale koploper, draagt bij aan de EU Access Toolbox en sluit aan bij de HTA-verordening die in 2028 van kracht wordt.

9. ***Vervangt Orphan Track de huidige procedures?***

Nee. Het is een aanvullende route, bedoeld als aanvulling op en stroomlijning van bestaande en toekomstbestendige trajecten. Er is geen wetswijziging nodig om de pilot te testen.

10. ***Hoe verhoudt Nederland zich tot andere EU-landen wat betreft de beschikbaarheid en vergoeding van geneesmiddelen voor zeldzame ziekten?***

Nederland loopt al achter. Patiënten wachten hier vaak jaren op therapieën die in buurlanden veel sneller beschikbaar zijn. Orphan Track biedt een duurzaam, patiëntgericht traject om deze kloof te dichten en ervoor te zorgen dat Nederland gelijke tred houdt met de Europese ambities voor snellere en rechtvaardigere beschikbaarheid en vergoeding van behandelingen.

Systeem

11. ***Hoe wordt het succes gemeten?***

Door middel van een gezamenlijk ontworpen pilot in 2026, waarbij de haalbaarheid, de relevantie voor patiënten, de betrokkenheid en de duurzaamheid worden geëvalueerd. De resultaten zullen worden meegenomen in een nationaal besluit over invoering en worden gebruikt in het EU-debat.

12. ***Wat is de tijdlijn?***

Oktober 2025: Rondetafelconferentie met stresstest van het Orphan Track Framework.

2026: Ontwerp en uitvoering van pilot

Q4 2026/begin 2027: Beslissing over nationale invoering.

Bijlage 1: Gedetailleerde beoordelingscriteria

Het Orphan Track Framework hanteert zes criteria om het betrouwbaarheidsniveau te bepalen voor behandelingen van zeldzame en uiterst zeldzame ziekten waarbij de onzekerheid van nature groot is. Deze criteria weerspiegelen zowel de prioriteiten van patiënten als de behoeften van het systeem om onzekerheid te adresseren.

criterium	 HIGH (Hoog vertrouwen)	 MODERATE (Matig vertrouwen)	 LOW/DEVELOP (Laag vertrouwen)
Relevantie voor patiënten	Patiënten hebben meegewerkt aan het ontwerp van het onderzoek: resultaten weerspiegelen de prioriteiten uit de praktijk; gelijkwaardig partnerschap bij beslissingen	Perspectief van patiënten erkend; enige dialoog met de gemeenschap; gedeeltelijke integratie	Beperkte inbreng van patiënten: resultaten voornamelijk bepaald door klinische perspectieven
Noodzaak	Hoge door patiënten gerapporteerde belasting; geen effectieve alternatieven; duidelijke on vervulde behoefte	Matige belasting; enkele alternatieven; gemengde prioriteiten van patiënten	Lagere belasting; adequate alternatieven beschikbaar
Effectiviteit	Sterk bewijs voor patiëntgerelateerde resultaten en passend gebruik; groot vertrouwen in voordelen in de praktijk	Matig vertrouwen: resultaten komen gedeeltelijk overeen met prioriteiten van patiënten	Beperkt vertrouwen in betekenisvol voordeel voor de patiënt
Kosteneffectiviteit	Aanvaardbaar gezien de door de patiënt gedefinieerde waarde en de zeldzaamheid	Onzeker, maar omvat patiëntgerelateerde overwegingen	Uitdagend, zelfs wanneer rekening wordt gehouden met de prioriteiten van de patiënt
Haalbaarheid	Kan op een rechtvaardige manier worden geleverd aan alle in aanmerking komende Nederlandse patiënten; infrastructuur is gereed	Kleine implementatieproblemen: enkele overwegingen met betrekking tot beschikbaarheid nodig	Uitdagingen bij de implementatie die aanzienlijke ontwikkeling vereisen omdat expertisecentra nog niet klaar zijn.
Gevolgen voor de begroting	Evenredig aan het aantal patiënten en de behoefte	Gematigde impact die gezamenlijk beheer vereist	Aanzienlijke impact die uitgebreide coördinatie vereist

Bijlage 2: Verklarende woordenlijst

Voorwaardelijke toelating (VT)

Nederlands systeem dat onder strikte voorwaarden tijdelijke vergoeding van veelbelovende therapieën toestaat, doorgaans voor maximaal zeven jaar, met evaluatie op basis van aanvullend bewijs dat tijdens die periode wordt verzameld.

Empowered By Us (EBU)

Door patiënten geleid initiatief gericht op inclusie, gelijkheid en beleid inzake zeldzame ziekten in Nederland en Europa. Medeauteur van het Orphan Track Framework.

Europees Geneesmiddelenbureau (EMA)

EU-agentschap dat verantwoordelijk is voor de wetenschappelijke evaluatie, het toezicht en de veiligheidscontrole van geneesmiddelen. Goedkeuring door het EMA is een voorwaarde voor markttoegang, maar biedt geen garantie voor vergoeding op nationaal niveau.

EU Access Toolbox (2025)

Europees initiatief ter ondersteuning van vroegere en rechtvaardigere beschikbaarheid van weesgeneesmiddelen en innovatieve therapieën. Roept op tot proefprojecten, resultaatgerichte modellen en betrokkenheid van patiënten.

Orphan Track NL Framework

Voorgesteld aanvullend traject om snellere, evenredige beschikbaarheid tot behandelingen voor zeldzame en uiterst zeldzame ziekten te bieden, met behulp van een op vertrouwen gebaseerd tieringsysteem.

Noot: In de Engelstalige versie worden de categorieën aangeduid als GO / CONDITIONAL / DEVELOP om de toegankelijkheid voor beleidsmakers te vergroten. In deze Nederlandstalige versie sluiten we aan bij de terminologie van VWS en ZIN: HIGH / MODERATE / LOW (DEVELOP)

GRADE

Grading of Recommendations, Assessment, Development and Evaluations. Gangbare methode voor het beoordelen van bewijs, vaak ongeschikt voor zeer kleine populaties met zeldzame ziekten.

Zorgverzekeraars

Particuliere zorgverzekeraars die binnen het Nederlandse systeem opereren en de behandelingen van patiënten vergoeden. Verantwoordelijk voor de uitvoering van vergoedingsbeslissingen van VWS en ZIN.

Nationaal Plan Zeldzame Aandoeningen (NPZA)

Plan van de Nederlandse overheid (in ontwikkeling) dat bedoeld is om de zorg voor en het beleid rond zeldzame ziekten te versterken. Biedt een bredere context, maar staat los van Orphan Track Framework.

Weesgeneesmiddel

Geneesmiddel dat bedoeld is voor de diagnose, preventie of behandeling van een levensbedreigende of chronisch invaliderende zeldzame ziekte of aandoening die minder dan 5 op de 10.000 mensen in de EU treft.

Weesgeneesmiddelenregeling (WGA)

Nederlands traject voor gecontroleerde toelating van weesgeneesmiddelen, gebaseerd op onderhandelde overeenkomsten over gebruik en monitoring.

ODAP (Orphan Drug Access Protocol)

Proefprotocol dat in Nederland wordt gebruikt voor het verzamelen van gestructureerde gegevens over het gebruik van weesgeneesmiddelen.

Motie Paulusma/Bushoff (2024)

Motie van de Tweede Kamer die een snellere toegangsroute voor weesgeneesmiddelen voorschrijft. Blijft een on vervulde politieke toezegging die Orphan Track Framework operationaliseert.

Sluis (sluissysteem)

Nederlands mechanisme dat vereist dat geneesmiddelen met verwachte jaarlijkse kosten van meer dan € 10 miljoen aan een beoordeling worden onderworpen voordat ze worden vergoed.

VWS (Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport)

Nederlands ministerie dat verantwoordelijk is voor het gezondheidsbeleid, inclusief beslissingen over vergoedingen en prijsstelling.

ZIN (Zorginstituut Nederland)

Overheidsinstantie die de Nederlandse overheid adviseert over beslissingen inzake de vergoeding van geneesmiddelen en behandelingen.