Ministerie van Volksgezondheid,
Welzijn en Sport

> Retouradres Postbus 20350 2500 EJ Den Haag

De Voorzitter van de Tweede Kamer
der Staten-Generaal
Postbus 20018
2500 EA DEN HAAG

Bezoekadres
Parnassusplein 5
2511 VX Den Haag
www.rijksoverheid.nl

Kenmerk
3691247-1053249-GMT

Bijlage(n)
-

Kenmerk afzender

Datum 25 september 2023
Betreft Beleidswijziging voorwaardelijke toelating van geneesmiddelen tot het basispakket van de zorgverzekering

Correspondentie uitsluitend richten aan het retouradres met vermelding van de datum en het kenmerk van deze brief.

Geachte voorzitter,

Tot het basispakket van de zorgverzekering behoort uitsluitend zorg die bewezen effectief is. In afwijking daarvan kan zorg tijdelijk en onder voorwaarden tot het basispakket worden toegelaten. Het huidige beleid voor deze voorwaardelijke toelating (hierna: VT) is vastgelegd in de brief aan de Tweede Kamer van 22 oktober 2019.[1]

Het Zorginstituut Nederland (hierna: Zorginstituut) vervult een centrale rol bij de uitvoering van de VT. Elke twee jaar verricht het Zorginstituut een evaluatie daarvan. Op basis van de ervaringen in de afgelopen jaren heeft het Zorginstituut de procedure voor de VT tegen het licht gehouden en in dat kader twee aanpassingen van het beleid voorgesteld[2]: een verduidelijking van het criterium *unmet medical need* en de mogelijkheid om in uitzonderingssituaties de maximale termijn van zeven jaar om te zetten naar een maximale termijn van veertien jaar. Ik neem deze voorstellen over en pas het beleid voor VT als volgt aan.

Unmet medical need

Eén van de criteria voor de VT is dat er sprake moet zijn van een *unmet medical need* (onvervulde behandelbehoefte) volgens de geldende definitie van het Europees Geneesmiddelenbureau (hierna: EMA). Het EMA definieert een onvervulde behandelbehoefte als een aandoening waarvoor geen bevredigende methode van diagnose, preventie of behandeling in de Europese Unie is toegelaten of waarvoor het betrokken geneesmiddel, indien een dergelijke methode wel bestaat, een aanzienlijk therapeutisch voordeel voor de patiënten zal opleveren.[3]

[1] Kamerstukken II 2019/20, 29477, nr. 621.
[2] Kamerstukken II 2021/22, 29477, nr. 783
[3] Artikel 4, tweede lid, van Verordening (EG) 507/2006.

Bij de toetsing aan deze voorwaarde gaat het Zorginstituut in eerste instantie uit van de beoordeling in het *European Public Assessment Report* (hierna: EPAR) van het EMA.

Of er sprake is van een *unmet medical need* is echter niet altijd expliciet, voldoende specifiek en voor alle relevante subgroepen van patiënten in de EPAR beschreven. Ook kan de situatie per land verschillen, afhankelijk van de beschikbare behandelingen in het betreffende land. Daarom bekijkt het Zorginstituut de situatie in Nederland op het moment van de aanvraag voor een VT van een geneesmiddel.

Het kan bijvoorbeeld zijn dat een ander geneesmiddel voor de betreffende indicatie wel is geregistreerd door het EMA, maar nog niet is opgenomen in het basispakket. Een voorbeeld is dat het andere geneesmiddel niet voldoet aan het wettelijke effectiviteitsvereiste en daarom niet daadwerkelijk beschikbaar is voor patiënten[4]. Dan kan er in Nederland nog steeds sprake zijn van een *unmet medical need*, en dus ruimte voor een VT. Een geneesmiddel dat via de VT wordt vergoed, wordt niet geacht te voorzien in de behandelbehoefte omdat (nog) niet aan het effectiviteitsvereiste wordt voldaan. Wellicht ten overvloede wordt opgemerkt dat er dus meerdere behandelingen voor dezelfde indicatie tegelijkertijd in VT kunnen zijn.

Verder is het mogelijk dat er na publicatie van het EPAR alsnog een geneesmiddel (of methode) wordt toegelaten die kan voorzien in de behandelbehoefte.

Daarnaast is het mogelijk dat de beroepsgroep van behandelaren van de desbetreffende aandoening en de relevante patiëntenvereniging aanwijzingen hebben dat er sprake is van een *unmet medical need*. Het kan bijvoorbeeld gaan om de waardering van de therapeutische voordelen van een behandeling bij een subgroep van patiënten.

Het Zorginstituut zal daarom van geval tot geval beoordelen welke behandelopties (doorgaans: geneesmiddelen) beschikbaar zijn voor een (sub)groep van patiënten met een bepaalde aandoening, of deze behandelopties voldoen aan het wettelijke effectiviteitsvereiste en of het nieuwe geneesmiddel mogelijk een klinisch relevant voordeel ten opzichte van de bestaande behandelopties heeft die reeds worden vergoed vanuit het basispakket. Op basis van deze beoordeling kan het Zorginstituut concluderen dat er een *unmet medical need* is, ook wanneer dit niet expliciet, voldoende specifiek en voor alle relevante subgroepen van patiënten in de EPAR is beschreven, of het basispakket een behandelmethode (geneesmiddel) voor de desbetreffende aandoening al bevat.

Maximale termijn

Een VT duurt zo kort mogelijk en in principe maximaal zeven jaar. Bij wijze van uitzondering is een maximale termijn van veertien jaar mogelijk.[5] Bij aanvang van de VT wordt bepaald of de maximale termijn van zeven of veertien jaar van toepassing is. Dit betekent niet dat automatisch een onderzoeksduur van zeven, respectievelijk veertien, jaar wordt gehanteerd. Er wordt per traject bekeken welke onderzoeksduur nodig is om de pakketvraag te kunnen beantwoorden. Het

[4] Dit is de stand van de wetenschap en praktijk als bedoeld in artikel 2.1, tweede lid, van het Besluit zorgverzekering.
[5] Daartoe is artikel 2.1, vijfde lid, van het Besluit zorgverzekering aangepast (Stb. 2020, 368).

is op dit moment niet mogelijk om later alsnog de termijn van maximaal zeven jaar te verlengen tot maximaal veertien jaar.
Er kunnen zich echter onvoorziene, aan de betrokkenen niet te verwijten omstandigheden voordoen waardoor een VT naar verwachting toch niet binnen zeven jaar afgerond zal kunnen worden. Het kan bijvoorbeeld gaan om een vertraagde of lagere inclusie van patiënten die deelnemen aan het onderzoek; dit is met name bij weesgeneesmiddelen een reëel risico vanwege de lage prevalentie of incidentie.
Een tweede voorbeeld is dat er een tweede geneesmiddel voor dezelfde indicatie op de markt komt, dat nog niet voldoet aan het wettelijke effectiviteitsvereiste en ook in de VT wordt opgenomen. De inclusie van patiënten bij de VT van het eerste middel zal dan waarschijnlijk ook vertraging oplopen. In dergelijke gevallen moet het mogelijk zijn om alsnog de maximale termijn van zeven jaar om te zetten naar een maximale termijn van veertien jaar. Het Zorginstituut, dat ook de voortgang van elke VT monitort, beoordeelt of er gegronde redenen zijn voor een dergelijke verlenging en of dan nog wordt voldaan aan de eisen voor VT en zal daarover een advies uitbrengen.

Tot slot

Deze aanpassingen met betrekking tot de *unmet medical need* en de maximale termijn verruimen het beleid omtrent VT en gaan per direct in. Dit wordt als volgt geëffectueerd. In de Regeling zorgverzekering (hierna: Rzv) is opgenomen welke zorg onder VT valt. Het Zorginstituut adviseert mij over de VT en adresseert daarbij onder meer de *unmet medical need* en de maximale termijn met inachtneming van de hierboven geschetste nieuwe beleidslijnen. Mede op basis van deze adviezen van het Zorginstituut besluit ik vervolgens over een wijziging van de Rzv om een VT te starten, aan te passen of te beëindigen.

Hoogachtend,

de minister van Volksgezondheid,
Welzijn en Sport,

Ernst Kuipers