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
T 070 340 79 11
F 070 340 78 34
www.rijksoverheid.nl

Ons kenmerk
4550518-1105687-GMT

Uw kenmerk
29 689, nr. 1357

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

Datum 20 november 2026
Betreft Verslag Schriftelijk Overleg (VSO) inzake Inbreng Reactie motie Maeijer over Voxzogo (Kamerstuk 29 689 nr. 1357)

Geachte voorzitter,

Hierbij zend ik u de antwoorden op de vragen van de Kamerleden inzake de Reactie op de motie van het lid Maeijer over voor het zomerreces met de fabrikant van Voxzogo om tafel gaan om te komen tot indiening van het dossier bij het Zorginstituut (Kamerstuk 29 689 nr. 1357).

Hoogachtend,

de minister van Volksgezondheid,
Welzijn en Sport,

Sophie Hermans

29 689 Herziening Zorgstelsel

29 477 Geneesmiddelenbeleid

Nr.

INBRENG VERSLAG VAN EEN SCHRIFTELIJK OVERLEG

Vastgesteld ……. 2026

In de vaste commissie voor Volksgezondheid, Welzijn en Sport bestond bij enkele fracties behoefte een aantal vragen en opmerkingen voor te leggen aan de minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport over de brief d.d. 16 juli 2026 inzake Reactie op de motie van het lid Maeijer over voor het zomerreces met de fabrikant van Voxzogo om tafel gaan om te komen tot indiening van het dossier bij het Zorginstituut (Kamerstuk 29 689 nr. 1357).

De vragen en opmerkingen zijn op 13 oktober 2026 aan de minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport voorgelegd. Bij brief van 3 november 2026 zijn de vragen beantwoord.

De voorzitter van de commissie,
Mohandis

Adjunct-griffier van de commissie,
Sjerp

Inhoudsopgave **blz.**

I. Vragen en opmerkingen vanuit de fracties
Vragen en opmerkingen van de leden van de VVD-fractie
Vragen en opmerkingen van de leden van de PVV-fractie
Vragen en opmerkingen van de leden van de CDA-fractie
Vragen en opmerkingen van de leden van de BBB-fractie
Vragen en opmerkingen van de leden van de SP-fractie

II. Reactie van de minister

I. Vragen en opmerkingen vanuit de fracties

Vragen en opmerkingen van de leden van de VVD-fractie

De leden van de VVD-fractie hebben kennisgenomen van de kabinetsreactie op de motie van het lid Maeijer over Voxzogo. Deze leden onderschrijven het oogpunt van consistent pakketbeheer dat erop gericht is om de financiële middelen zo rechtvaardig mogelijk te verdelen over alle patiënten in Nederland. Deze leden vinden het onwenselijk om een uitzonderingspositie te verlenen aan een medicijn of farmaceutisch bedrijf. Desalniettemin erkennen de leden van de VVD-fractie het leed dat komt bij het niet krijgen van een passende behandeling bij achondroplasie. De leden van de VVD-fractie hopen, net als de minister, dat er snel andere geneesmiddelen kunnen worden toegelaten tot de markt.

Vragen en opmerkingen van de leden van de PVV-fractie

De leden van de PVV-fractie hebben kennisgenomen van de brief van de minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport van 16 juli 2026 over de reactie van BioMarin op de motie-Maeijer inzake Voxzogo (Kamerstuk 29 689, nr. 1357). Deze leden vinden het onacceptabel dat Nederlandse kinderen met achondroplasie nog steeds geen toegang hebben tot deze behandeling, terwijl het middel in andere Europese landen wel beschikbaar is. Zij hebben hierover de volgende vragen en opmerkingen.

De leden van de PVV-fractie hebben in eerdere inbrengen over geneesmiddelenbeschikbaarheid en het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen gevraagd hoe de afhankelijkheid van de fabrikant kan worden doorbroken. Deze leden begrijpen dat Europese markttoelating en vergoeding verschillende beoordelingen zijn. Zij vragen waarom een beoordeling van de pakketwaardigheid volledig vastloopt zodra een fabrikant geen dossier indient.Welke noodzakelijke gegevens ontbreken voor Voxzogo precies? Welke gegevens zijn uitsluitend bij BioMarin beschikbaar en welke kunnen worden verkregen uit openbare onderzoeken, de Europese

toelatingsstukken, buitenlandse beoordelingen en behandelgegevens? Kan het Zorginstituut daarmee zelf een beoordeling voorbereiden of uitvoeren? Zo nee, welke concrete wettelijke bepalingen of ontbrekende gegevens verhinderen dit? Welke aanpassing is nodig om te voorkomen dat een fabrikant door het achterhouden van een dossier iedere beoordeling kan blokkeren?

In de eerdere beantwoording over Voxzogo schreef de minister dat uit de scopingbijeenkomst was gebleken dat voorwaardelijke toelating niet passend leek, omdat er op voorhand geen ontbrekend bewijs leek te zijn dat een oordeel over de stand van de wetenschap en praktijk verhinderde (Kamerstuk 29 477, nr. 966). Kan de minister uitleggen wat het Zorginstituut op basis van de beschikbare gegevens al wel kan beoordelen en waarvoor het dossier nog nodig is? Is BioMarin ingegaan op het aangeboden wetenschappelijk advies over de inhoud van een dossier? Welke mogelijkheden zijn daarna nog besproken om tot een aanvraag te komen ?

De minister verwijst naar andere landen waar de kosteneffectiviteit ongunstig zou zijn beoordeeld. Om welke landen en beoordelingen gaat het? Kan zij deze met de Kamer delen en aangeven of die beoordelingen zijn gebaseerd op de openbare vraagprijs of de uiteindelijk overeengekomen prijs? Hoe zijn deze landen vervolgens omgegaan met vergoeding en welke lessen trekt de minister daaruit? Heeft de minister contact gehad met België over de actuele beschikbaarheid en vergoeding van Voxzogo? Deze leden ontvangen signalen dat daar inmiddels toegang mogelijk is. Klopt dit en gaat het om reguliere vergoeding, tijdelijke beschikbaarheid of een andere regeling? Welke voorwaarden gelden daarbij en wat kan Nederland daarvan leren? Is de minister bereid via BeNeLuxA gezamenlijk op te trekken richting BioMarin?

Ook over Malta blijven vragen bestaan. In de eerdere beantwoording gaf de minister aan niet op de hoogte te zijn van de specifieke Maltese regeling. Heeft zij inmiddels bij de Maltese autoriteiten nagevraagd hoe de levering en financiering van Voxzogo zijn geregeld? Zo nee, waarom niet? Deze leden begrijpen dat import op zichzelf geen recht op vergoeding geeft. Zij willen juist weten hoe Malta beide heeft georganiseerd en welke onderdelen daarvan in Nederland bruikbaar zouden kunnen zijn. Kan de minister dit onderzoeken en de Kamer daarover informeren?

De Kamer heeft met 126 stemmen de motie-Thiadens/Claassen aangenomen over een pilot voor Voxzogo of overbruggingsafspraken met andere Europese landen (Kamerstuk 24 170, nr. 378). In de reactie van november 2025 gaf de minister aan niet volledig aan deze motie tegemoet te kunnen komen en verwees zij naar de bestaande beoordelingsroutes. Welke mogelijkheden voor een pilot of overbrugging zijn daadwerkelijk onderzocht, met welke partijen is gesproken en waarom zijn deze mogelijkheden afgevallen? Welke rol

hebben de ouderwerkgroep en behandelaars daarbij gehad? Is de minister bereid met hen opnieuw te onderzoeken welke tijdelijke oplossing mogelijk is, met een beoordeling van de beschikbare gegevens en afspraken over prijs, veiligheid en het volgen van behandelresultaten?

De leden van de PVV-fractie ontvangen signalen dat ouders hun kinderen aanmelden voor klinische trials met andere geneesmiddelen voor achondroplasie, omdat Voxzogo in Nederland niet wordt vergoed. Is de minister met deze signalen bekend? Deze leden vinden het onwenselijk dat ouders zich door het ontbreken van toegang tot behandeling genoodzaakt voelen hun kind aan onderzoek te laten deelnemen. Hoe wordt gewaarborgd dat ouders een werkelijk vrije en goed geïnformeerde keuze kunnen maken, met duidelijke uitleg over de onzekerheden, risico's en mogelijke voordelen? Welke begeleiding krijgen zij daarbij? Welke afspraken gelden over voortzetting van de behandeling na afloop van een trial als een kind er baat bij heeft? Deelt de minister de mening dat deelname aan onderzoek geen oplossing is voor het vastgelopen vergoedingstraject van Voxzogo?

De minister spreekt de hoop uit dat andere geneesmiddelen voor achondroplasie snel beschikbaar komen. Wat is de actuele stand van de markttoelating en de voorbereiding van vergoedingsaanvragen voor deze middelen? Hoe voorkomt zij dat ook deze trajecten vastlopen voordat een dossier is ingediend? Voxzogo is bedoeld voor kinderen bij wie de groeischijven nog niet zijn gesloten. Hoeveel Nederlandse kinderen dreigen hun behandelmogelijkheid te verliezen door het voortduren van de huidige impasse? Wat kan de minister juist voor deze kinderen op korte termijn doen?

De leden van de PVV-fractie hebben in hun eerdere inbreng over het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen ook gevraagd naar de gevolgen van het beleid voor maatschappelijk aanvaardbare uitgaven aan geneesmiddelen (MAUG) voor toegang tot weesgeneesmiddelen. Bij de burgerraadpleging voor MAUG zijn casussen over zeldzame ziekten besproken. Hoe is daarbij rekening gehouden met kleine patiëntengroepen, beperkte onderzoeksgegevens, gezondheidswinst op langere termijn en het ontbreken van behandelalternatieven? Zijn ouders van kinderen met zeldzame aandoeningen en hun behandelaars bij de uitwerking betrokken? Hoe worden hun ervaringen meegewogen? Is onderzocht of de voorgestelde prijs- en beoordelingscriteria ertoe kunnen leiden dat fabrikanten voor deze middelen geen aanvraag in Nederland indienen? Welke gevolgen heeft dit voor de toegang tot behandeling en welke maatregelen neemt de minister om dit te voorkomen?

Tot slot vragen deze leden de minister om een concreet overzicht van de vervolgstappen voor Voxzogo, met per stap de verantwoordelijke partij en een termijn. Wat gaat de minister momenteel doen om de impasse te

doorbreken? Nederlandse kinderen en hun ouders kunnen niet blijven wachten op nieuwe gesprekken of een toekomstig stelsel terwijl hun behandelmogelijkheid verdwijnt.

Vragen en opmerkingen van de leden van de CDA-fractie

De leden van de CDA-fractie hebben met interesse kennisgenomen van de brief van de minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport met daarin de reactie op de motie van het lid Maeijer over voor het zomerreces met de fabrikant van Voxzogo om tafel gaan om te komen tot indiening van het dossier bij het Zorginstituut. Deze leden hebben op dit moment geen verdere vragen.

Vragen en opmerkingen van de leden van de BBB-fractie

De leden van de BBB-fractie hebben met belangstelling kennisgenomen van de kabinetsreactie op de motie-Maeijer over de vergoeding van het weesgeneesmiddel Voxzogo (Kamerstuk 29 689, nr. 1357).

Deze leden begrijpen dat de minister niet zomaar kan besluiten een geneesmiddel te vergoeden wanneer de fabrikant geen vergoedingsdossier indient. Een zorgvuldige beoordeling van de werkzaamheid, de gezondheidswinst en de kosteneffectiviteit van geneesmiddelen is belangrijk. Ook begrijpen zij dat de overheid kritisch moet kunnen onderhandelen over geneesmiddelenprijzen, om te voorkomen dat de betaalbaarheid van de zorg onder druk komt te staan. Tegelijkertijd vinden deze leden het bijzonder schrijnend wanneer er voor patiënten met een ernstige of zeldzame aandoening een behandeling bestaat, maar deze in Nederland niet beschikbaar komt. Achter iedere vergoedingsprocedure zitten immers patiënten en families voor wie een nieuwe behandeling van grote betekenis kan zijn. Zeker bij aandoeningen waarbij de gezondheid in de loop van de tijd achteruitgaat, kan wachten op een behandeling grote gevolgen hebben. De leden van de BBB-fractie vinden daarom dat het Nederlandse geneesmiddelenbeleid niet alleen moet zorgen voor betaalbare geneesmiddelen, maar ook voor een zo goed mogelijke toegankelijkheid van nieuwe behandelingen.

Naar aanleiding van ‘De casus-Voxzogo’. De leden van de BBB-fractie lezen dat de fabrikant van Voxzogo, BioMarin, ervoor heeft gekozen geen vergoedingsdossier in Nederland in te dienen, omdat de fabrikant van mening is dat het Nederlandse beoordelingssysteem onvoldoende rekening houdt met de bredere gezondheidswinst van de behandeling. De minister geeft aan dat deze bewering zonder dossier niet door het Zorginstituut kan worden getoetst. De leden van de BBB-fractie begrijpen weliswaar deze redenering, maar vragen tegelijkertijd of hiermee alle mogelijkheden zijn onderzocht. Heeft de minister met BioMarin besproken of en zo ja, op welke wijze de door de

fabrikant genoemde verbeteringen binnen de bestaande beoordelingssystematiek kunnen worden meegewogen. Wat heeft dit overleg opgeleverd? Zijn er nog mogelijkheden om de fabrikant alsnog te bewegen een volledig dossier in te dienen?

Welke lessen trekt de minister uit deze casus voor de toegankelijkheid van andere weesgeneesmiddelen? En hoe kan worden voorkomen dat vergelijkbare situaties zich in de toekomst opnieuw voordoen?

Naar aanleiding van ‘Beschikbaarheid van weesgeneesmiddelen in Nederland’. De leden van de BBB-fractie maken zich zorgen over de beschikbaarheid van nieuwe behandelingen voor patiënten met zeldzame aandoeningen. Volgens de EFPIA WAIT Indicator is slechts 39% van de tussen 2021 en 2024 geregistreerde weesgeneesmiddelen in Nederland beschikbaar. Hoe beoordeelt de minister dit percentage? Vindt zij dat Nederland hiermee voldoende toegang biedt tot nieuwe behandelingen voor zeldzame aandoeningen? Welke mogelijkheden ziet zij om de beschikbaarheid te verbeteren?

In de beantwoording van Kamervragen van het lid Wiersma (BBB) van 31 augustus jl. geeft de minister aan dat de WAIT Indicator beperkingen kent, onder andere doordat na een positief vergoedingsbesluit nog tijd kan verstrijken voordat een geneesmiddel daadwerkelijk in de klinische praktijk wordt toegepast. Betekent dit dat het percentage weesgeneesmiddelen dat daadwerkelijk beschikbaar is voor Nederlandse patiënten nog lager ligt dan de genoemde 39 procent? Kan de minister inzichtelijk maken hoeveel van de geregistreerde weesgeneesmiddelen daadwerkelijk toegankelijk zijn voor patiënten in Nederland?

De minister geeft in diezelfde beantwoording aan dat voor een deel van de geneesmiddelen die in Nederland niet worden vergoed, geen vergoedingsdossier is ingediend. Kan zij voor de afgelopen vijf jaar inzichtelijk maken bij hoeveel en welk aandeel van de nieuwe weesgeneesmiddelen dit het geval was? Is hierin een ontwikkeling zichtbaar? Heeft de minister inzicht in de redenen waarom fabrikanten besluiten geen dossier in Nederland in te dienen? En in hoeverre spelen de Nederlandse beoordelingsprocedure, de verwachte doorlooptijd en de vergoedingsvoorwaarden daarbij een rol?

Naar aanleiding van ‘Toegankelijkheid en toekomstige beoordeling’. De leden van de BBB-fractie begrijpen dat ook bij weesgeneesmiddelen zorgvuldig moet worden gekeken naar de verhouding tussen de kosten en de gezondheidswinst. Tegelijkertijd kenmerken deze geneesmiddelen zich vaak door kleine patiëntengroepen, beperkte onderzoeksgegevens en hoge ontwikkelkosten. Juist daardoor kan het moeilijk zijn om de

kosteneffectiviteit op dezelfde wijze vast te stellen als bij geneesmiddelen van veelvoorkomende aandoeningen.
Binnen het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen krijgt het Zorginstituut een grotere rol bij de beoordeling van nieuwe geneesmiddelen en zal kosteneffectiviteit zwaarder meewegen. Welke gevolgen verwacht de minister hiervan voor de beschikbaarheid en toegankelijkheid van weesgeneesmiddelen? Hoe wordt voorkomen dat patiënten met zeldzame aandoeningen hierdoor langer moeten wachten op nieuwe behandelingen of dat fabrikanten besluiten hun geneesmiddelen niet meer voor vergoeding in Nederland aan te bieden?

De leden van de BBB-fractie vragen daarbij of het huidige beoordelingssysteem voldoende mogelijkheden biedt om de bijzondere omstandigheden van zeldzame aandoeningen mee te wegen, waaronder de beperkte omvang van patiëntengroepen en de mogelijke betekenis van een behandeling voor de kwaliteit van leven en het dagelijks functioneren van patiënten.

Naar aanleiding van ‘Uitvoering moties en eerdere toezeggingen’. De leden van de BBB-fractie vragen welke concrete stappen de minister zet ter uitvoering van de motie-Vervuurt (Kamerstuk 29 689, nr. 1345). Kan zij aangeven welke maatregelen inmiddels zijn genomen en welk tijdpad zij voor de verdere uitvoering voorziet?

Tijdens het commissiedebat Zorgverzekeringsstelsel van 10 juni jl. heeft de minister toegezegd de Kamer te informeren over mogelijke maatregelen om fabrikanten te stimuleren vergoedingsdossiers in Nederland in te dienen. Wanneer kan de Kamer deze informatie verwachten? Wordt daarbij ook onderzocht welke belemmeringen fabrikanten ervaren en hoe deze, zonder afbreuk te doen aan een zorgvuldige beoordeling, kunnen worden weggenomen?

Naar aanleiding van ‘Internationale ontwikkelingen’. Tot slot hebben de leden van de BBB-fractie vragen over de internationale ontwikkelingen op de geneesmiddelenmarkt. In de VWS-begroting van 2027 wordt een verkenning aangekondigd naar de mogelijkheden om het geneesmiddelenvergoedingssysteem en de Wet geneesmiddelenprijzen beter te laten aansluiten op geopolitieke veranderingen. Wordt bij deze verkenning ook gekeken naar de gevolgen van het Amerikaanse Most-Favored Nation-prijsbeleid voor de introductie van nieuwe geneesmiddelen in Europa? Ziet de minister het risico dat fabrikanten door internationale prijsontwikkelingen ervoor kiezen nieuwe geneesmiddelen later of helemaal niet in Nederland beschikbaar te stellen? Welke mogelijkheden heeft Nederland om dit risico te beperken? Wanneer ontvangt de Kamer de resultaten van deze verkenning?

De leden van de BBB-fractie benadrukken tot slot dat een betaalbaar en solidair zorgstelsel van groot belang is, maar dat dit stelsel uiteindelijk ook bedoeld is om patiënten toegang te bieden tot goede zorg. Zij vinden het daarom belangrijk dat Nederland een aantrekkelijk land blijft om nieuwe geneesmiddelen beschikbaar te stellen, juist ook voor patiënten met zeldzame aandoeningen voor wie soms maar weinig behandelalternatieven bestaan.

Vragen en opmerkingen van de leden van de SP-fractie

De leden van de SP-fractie hebben kennisgenomen van de reactie op de motie van het lid Maeijer over voor het zomerreces met de fabrikant van Voxzogo om tafel gaan om te komen tot indiening van het dossier bij het Zorginstituut. Zij hebben hier nog enkele vragen en opmerkingen over.

De leden van de SP-fractie spreken hun ongenoegen uit over het feit dat kinderen met achondroplasie in Nederland, in tegenstelling tot in andere Europese landen geen toegang hebben tot dit belangrijke medicijn. Zij vragen de minister daarom welke redenen de fabrikant heeft gegeven om in Nederland geen vergoedingsdossier te willen indienen.

De leden van de SP-fractie benadrukken daarnaast dat de problemen rondom de beschikbaarheid van Voxzogo duidelijk maken dat het geneesmiddelenstelsel in Nederland veel te afhankelijk is van commerciële farmaceutische bedrijven. Hoe kijkt de minister hiernaar? Welke stappen gaat zij zetten om ervoor te zorgen dat patiënten niet meer overgeleverd zijn aan de grillen van op winst beluste bedrijven voor belangrijke geneesmiddelen zoals Voxzogo?

II. Reactie van de minister

Vragen en opmerkingen van de leden van de PVV-fractie

De leden van de PVV-fractie hebben kennisgenomen van de brief van de minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport van 16 juli 2026 over de reactie van BioMarin op de motie-Maeijer inzake Voxzogo (Kamerstuk 29 689, nr. 1357). Deze leden vinden het onacceptabel dat Nederlandse kinderen met achondroplasie nog steeds geen toegang hebben tot deze behandeling, terwijl het middel in andere Europese landen wel beschikbaar is. Zij hebben hierover de volgende vragen en opmerkingen.

De leden van de PVV-fractie hebben in eerdere inbrengen over geneesmiddelenbeschikbaarheid en het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen gevraagd hoe de afhankelijkheid van de fabrikant kan worden doorbroken. Deze leden begrijpen dat Europese markttoelating en vergoeding verschillende beoordelingen zijn. Zij vragen waarom een beoordeling van de pakketwaardigheid volledig vastloopt zodra een fabrikant geen dossier indient.

Om een zorgvuldig oordeel te kunnen vormen over de pakketwaardigheid, wordt gekeken naar de pakketcriteria effectiviteit (stand van de wetenschap en praktijk), kosteneffectiviteit, noodzakelijkheid en uitvoerbaarheid. De informatie die nodig is om deze pakketcriteria te beoordelen, volgt uit het vergoedingsdossier dat wordt ingediend door een leverancier. Dit vergoedingsdossier omvat cruciale informatie, zoals de therapeutische waarde, relevante klinische studies en budgetimpact om het geneesmiddel te kunnen beoordelen. Als er geen volledig vergoedingsdossier wordt ingediend, beschikt het Zorginstituut over onvoldoende informatie om de beoordeling te kunnen starten.

Los daarvan is de leverancier als registratiehouder een private partij die het intellectuele eigendomsrecht heeft van een geneesmiddel, beschermd door octrooiwetgeving, en daarmee het recht heeft om te bepalen om zijn geneesmiddel(en) wel of niet op de markt te brengen, en wanneer[1]. Als de leverancier tot het oordeel komt dat de marktomstandigheden ongunstig zijn, kan hij besluiten om een geneesmiddel niet op de markt te brengen. Ook kan hij besluiten om een bepaalde lanceerstrategie te hanteren, waarbij een geneesmiddel wordt geïntroduceerd volgens een bepaalde, voor de leverancier gunstige, volgorde van landen. Bijvoorbeeld omdat de prijs van een land dat eerder aan de beurt komt doorwerkt in de prijs van een land dat later aan de beurt komt. Het kabinet begrijpt dat dit ongemakkelijk voelt, omdat geneesmiddelen een grote maatschappelijke waarde vertegenwoordigen, deze

[1] Omgekeerd is de overheid als betaler niet verplicht een geneesmiddel te vergoeden.

grotendeels uit collectieve middelen worden betaald, en mede daarom streng gereguleerd worden, bijvoorbeeld via prijs- en vergoedingsbeleid, dat zich richt op een zo verantwoord mogelijke besteding van zorgbudgetten. Daarom worden geneesmiddelen in economisch jargon ook wel quasi-publieke goederen genoemd. Tegelijk is voor de ontwikkeling van geneesmiddelen nu eenmaal privaat kapitaal nodig en dat trekken we alleen maar aan als private partijen daarvoor voldoende prikkels hebben.

Welke noodzakelijke gegevens ontbreken voor Voxzogo precies? Welke gegevens zijn uitsluitend bij BioMarin beschikbaar en welke kunnen worden verkregen uit openbare onderzoeken, de Europese toelatingsstukken, buitenlandse beoordelingen en behandelgegevens? Kan het Zorginstituut daarmee zelf een beoordeling voorbereiden of uitvoeren? Zo nee, welke concrete wettelijke bepalingen of ontbrekende gegevens verhinderen dit?

In het vergoedingsproces heeft iedere partij een eigen rol en verantwoordelijkheid. Van de leverancier wordt verwacht dat deze een volledig vergoedingsdossier indient met de gegevens die nodig zijn om zijn aannames te onderbouwen. De keuze om een geneesmiddel op de Nederlandse markt aan de bieden en vergoeding daarvoor aan te vragen, ligt bij de leverancier. Het is ook aan de leverancier om een claim te doen over de effectiviteit (en dat te onderbouwen, door daar klinisch onderzoek voor te doen). Het Zorginstituut, als pakketbeheerder, is vervolgens verantwoordelijk voor de onafhankelijke beoordeling van een vergoedingsdossier, inclusief de claim over de effectiviteit. Het is niet de bedoeling dat het Zorginstituut zelf een vergoedingsdossier samenstelt en vervolgens beoordeelt. Leveranciers hebben de ruimte om in een vroegtijdig stadium wetenschappelijk advies aan te vragen bij het Zorginstituut. Hierbij geeft het Zorginstituut vooraf advies over de insteek voor het in te dienen vergoedingsdossier. Hiermee wordt beoogd vooraf duidelijkheid te creëren over wat nodig en wat haalbaar is bij de indiening van het vergoedingsdossier.

Daarnaast is het de vraag wat een beoordeling van het Zorginstituut op basis van openbare data zou opleveren. Voor een vergoedingsdossier is namelijk al een vereiste dat de daarin gebruikte data afkomstig moet zijn van *peer-reviewed* wetenschappelijke tijdschriften. De leverancier heeft kennelijk de inschatting gemaakt dat het Zorginstituut op basis van een dossier en model voor de kosteneffectiviteit, die de leverancier zelf kan samenstellen inclusief probabilistische analyses en aannames op basis van openbare data, het geneesmiddel onvoldoende zal waarderen. Daarmee bedoelt de leverancier dat het Zorginstituut een (fors) lagere prijs zal adviseren dan de leverancier wenst te vragen. Het lijkt het kabinet dan niet waarschijnlijk dat het Zorginstituut op basis van een eigen model en analyse tot een advies komt over een prijs die voor de leverancier wel acceptabel is.

Welke aanpassing is nodig om te voorkomen dat een fabrikant door het achterhouden van een dossier iedere beoordeling kan blokkeren?

Hoewel iedere partij zijn eigen verantwoordelijkheid moet en zal blijven dragen, wil het kabinet voorkomen dat het vergoedingsproces onnodige hordes opwerpt en Nederland daarmee ongewild onaantrekkelijk wordt voor leveranciers. Dat is een van de redenen dat het kabinet inzet op een Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen (TSG), waarin procedures geharmoniseerd en voorspelbaarder worden. Ook wordt binnen TSG opnieuw gekeken welke risico's acceptabel zijn en wanneer een verkorte (snellere) beoordeling mogelijk is. Tegelijk wil het kabinet er wel op wijzen, dat ook in TSG voor dure geneesmiddelen in principe een kosteneffectiviteitsanalyse nodig is, en indien nodig kortingsadviezen zullen worden gegeven. Als een leverancier op voorhand niet bereid is een maatschappelijk aanvaarbare prijs overeen te zullen komen, dat wil zeggen een prijs die recht zal doen aan het kortingsadvies, kan de leverancier ook dan besluiten om geen dossier in te dienen.

In de eerdere beantwoording over Voxzogo schreef de minister dat uit de scopingbijeenkomst was gebleken dat voorwaardelijke toelating niet passend leek, omdat er op voorhand geen ontbrekend bewijs leek te zijn dat een oordeel over de stand van de wetenschap en praktijk verhinderde (Kamerstuk 29 477, nr. 966). Kan de minister uitleggen wat het Zorginstituut op basis van de beschikbare gegevens al wel kan beoordelen en waarvoor het dossier nog nodig is?

Op basis van door de leverancier verstrekte informatie in de scopingsbijeenkomst, heeft het Zorginstituut aangegeven dat er geen kennishiaten lijken te zijn die een oordeel over de effectiviteit op voorhand in de weg staan: er zou voldoende data voorhanden moeten zijn om een vergoedingsdossier, inclusief claim over de effectiviteit, in te dienen. Het Zorginstituut zegt daarmee nog niet dat het tot een positief oordeel zal komen over de effectiviteit, of kosteneffectiviteit. Daarvoor is een vergoedingsdossier nodig, met data, analyses en onderbouwing van aannames.

Is BioMarin ingegaan op het aangeboden wetenschappelijk advies over de inhoud van een dossier? Welke mogelijkheden zijn daarna nog besproken om tot een aanvraag te komen?

Biomarin heeft in gesprekken met het Zorginstituut onderzoeksresultaten gedeeld, die aan zouden tonen dat Voxzogo een therapeutische meerwaarde heeft voor patiënten met achondroplasie. Echter kan het Zorginstituut deze aannames zonder vergoedingsdossier niet toetsen. Ondanks herhaalde pogingen van het Zorginstituut en VWS om de leverancier te bewegen een

vergoedingsdossier in te dienen, blijft de leverancier bij zijn standpunt om geen dossier aan te leveren. Het kabinet heeft helaas geen andere mogelijkheden om hier wat aan te doen. Het kabinet hoopt dat de andere leveranciers van de geneesmiddelen voor achondroplasie, na toelating tot de Europese markt, snel een vergoedingsdossier indienen.

De minister verwijst naar andere landen waar de kosteneffectiviteit ongunstig zou zijn beoordeeld. Om welke landen en beoordelingen gaat het? Kan zij deze met de Kamer delen en aangeven of die beoordelingen zijn gebaseerd op de openbare vraagprijs of de uiteindelijk overeengekomen prijs?

Het betreft in ieder geval de Europese landen Denemarken, Ierland, Noorwegen, Polen, Zweden en Slowakije. In al deze landen werd geconcludeerd dat Voxzogo tegen de ingediende prijs niet voldeed aan de geldende kosteneffectiviteitscriteria. De ongunstige kosteneffectiviteit vormde, naast andere overwegingen, de basis voor een negatief vergoedingsadvies in al deze landen. In het Verenigd Koninkrijk is de beoordeling niet afgerond, omdat de leverancier de aanvraag heeft ingetrokken.

Gezien de omvang van de beoordelingsrapporten, die veelal niet in het Engels worden gepubliceerd, kan niet eenduidig worden aangegeven of de beoordelingen waren gebaseerd op de openbare lijstprijs of op de overeengekomen prijs.

Hoe zijn deze landen vervolgens omgegaan met vergoeding en welke lessen trekt de minister daaruit?

Voxzogo wordt in geen van de genoemde landen vergoed, met uitzondering van Polen. Hieruit kunnen meerdere conclusies worden getrokken. Ten eerste blijkt dat het voor de leverancier wel degelijk mogelijk is om een compleet vergoedingsdossier met een kosteneffectiviteitsanalyse aan te leveren. Ten tweede blijkt dat ook in andere Europese landen het belang van een grondige geneesmiddelbeoordeling wordt onderschreven. Ten derde suggereren de uitkomsten van de beoordelingen dat de klinische baten van Voxzogo niet zomaar opwegen tegen de hoge kosten.

Heeft de minister contact gehad met België over de actuele beschikbaarheid en vergoeding van Voxzogo? Deze leden ontvangen signalen dat daar inmiddels toegang mogelijk is. Klopt dit en gaat het om reguliere vergoeding, tijdelijke beschikbaarheid of een andere regeling? Welke voorwaarden gelden daarbij en wat kan Nederland daarvan leren?

Het ministerie van VWS heeft contact opgenomen met Belgische ambtenaren in het kader van de beantwoording van deze Kamervragen. Het is daarbij relevant te vermelden dat Voxzogo pas sinds het begin van deze maand wordt vergoed in België.

In België is in 2023 al een vergoedingsaanvraag ingediend bij de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen (CTG). Op basis van de beoordeling van CTG, en het daaropvolgend verzoek om de prijs te verminderen, heeft BioMarin besloten de aanvraag tot vergoeding in te trekken. Medio 2025 heeft de leverancier opnieuw een dossier ingediend. De inhoud daarvan is niet openbaar.

Voxzogo wordt vanaf 1 oktober 2026 tot 1 oktober 2029 vergoed voor de geregistreerde indicatie onder voorwaarde van een vertrouwelijk financieel arrangement. Als aanvullende voorwaarden dient de therapie voorgeschreven te worden door een arts-specialist met bepaalde expertise. Daarnaast zijn er start- en stopcriteria voor vergoeding die samenhangen met de klinische doeltreffendheid van de therapie. Dergelijke afspraken, zowel een vertrouwelijk financieel arrangement als gepast gebruik afspraken, zijn in Nederland ook mogelijk. Er zijn wel verschillen die de andere uitkomst mogelijk kan verklaren. Zo is de bereidheid te betalen per gewonnen jaar in goede gezondheid in Nederland expliciet vastgelegd, de zogenoemde maximale referentiewaarden van 20.000, 50.000 en 80.000 euro per QALY, afhankelijk van de ziektelast, en in België niet. Ook geldt dat in Nederland het advies van het Zorginstituut, inclusief prijsadvies, volledig openbaar is, en in België niet. Wel is in België een samenvatting van het advies publiekelijk in te zien.

Is de minister bereid via BeNeLuxA gezamenlijk op te trekken richting BioMarin?

Nee. België heeft zoals gezegd al een financieel arrangement gesloten. En daarnaast geldt dat hoe dan ook voor vergoeding in Nederland een oordeel over de pakketwaardigheid door het Zorginstituut nodig is.

Ook over Malta blijven vragen bestaan. In de eerdere beantwoording gaf de minister aan niet op de hoogte te zijn van de specifieke Maltese regeling. Heeft zij inmiddels bij de Maltese autoriteiten nagevraagd hoe de levering en financiering van Voxzogo zijn geregeld? Zo nee, waarom niet?

Nee, er is geen navraag gedaan bij de Maltese autoriteiten. Dit biedt namelijk geen oplossing voor het feit dat voor toegang tot Voxzogo in Nederland; de geldende vergoedingsprocedure moet worden doorlopen. Elk lidstaat heeft zijn eigen nationale procedures om te bepalen of een geneesmiddel wordt vergoed, onder meer omdat lidstaten zelf zeggenschap hebben over hun eigen

begroting. Alhoewel het wenselijk kan zijn voor patiënten om zo snel mogelijk toegang te krijgen tot Voxzogo, hecht het kabinet waarde aan de beoordeling van de pakketwaardigheid door het Zorginstituut. De procedures voor vergoeding zijn er niet voor niets en borgen dat het kabinet alle gevallen gelijk behandelt, zodat het kabinet – gegeven een beperkt budget en beperkte capaciteit in de zorg - rechtvaardige keuzes kan maken, op basis van gezondheidswinst.

Deze leden begrijpen dat import op zichzelf geen recht op vergoeding geeft. Zij willen juist weten hoe Malta beide heeft georganiseerd en welke onderdelen daarvan in Nederland bruikbaar zouden kunnen zijn. Kan de minister dit onderzoeken en de Kamer daarover informeren?

Het kabinet ziet op dit moment geen aanleiding om nader te onderzoeken hoe Malta dit heeft georganiseerd. De situatie in Malta is niet zonder meer te vertalen naar de Nederlandse context. Een dergelijk onderzoek verandert dan ook niets aan het feit dat de verantwoordelijkheid voor het indienen van een vergoedingsdossier bij de leverancier ligt, zodat de nationale vergoedingsprocedure kan worden doorlopen. Tenslotte wijst het kabinet er ook op dat ook de capaciteit van beleidsambtenaren niet onbeperkt is en het kabinet de doelstelling heeft om tot een slagvaardige overheid te komen. Ook daarom acht het kabinet een dergelijk onderzoek niet zinvol.

De Kamer heeft met 126 stemmen de motie-Thiadens/Claassen aangenomen over een pilot voor Voxzogo of overbruggingsafspraken met andere Europese landen (Kamerstuk 24 170, nr. 378). In de reactie van november 2025 gaf de minister aan niet volledig aan deze motie tegemoet te kunnen komen en verwees zij naar de bestaande beoordelingsroutes. Welke mogelijkheden voor een pilot of overbrugging zijn daadwerkelijk onderzocht, met welke partijen is gesproken en waarom zijn deze mogelijkheden afgevallen? Welke rol hebben de ouderwerkgroep en behandelaars daarbij gehad? Is de minister bereid met hen opnieuw te onderzoeken welke tijdelijke oplossing mogelijk is, met een beoordeling van de beschikbare gegevens en afspraken over prijs, veiligheid en het volgen van behandelresultaten?

Het kabinet heeft begrip voor de wens van ouders om te zoeken naar mogelijkheden om het geneesmiddel alsnog beschikbaar te maken. Het kabinet is daarbij echter afhankelijk van de bereidheid van de firma om een dossier in te dienen. Ook wil het kabinet geen uitzonderingen maken. Het kabinet wil patiënten graag zo goed mogelijk helpen, maar moet tegelijkertijd oog houden voor het bredere belang en de houdbaarheid van het systeem als geheel. Het kabinet vindt het niet verantwoord om uitzonderingen te maken en om dure geneesmiddelen met beperkte of onzekere kosteneffectiviteit zonder meer te vergoeden. Dat kan de betaalbaarheid en de solidariteit van onze gezondheidszorg aantasten. Als het kabinet voor Voxzogo een

uitzondering zou maken, moet het kabinet dat immers ook voor andere, vergelijkbare middelen doen. Daarom heeft het kabinet geen initiatieven genomen om te onderzoeken of een uitzondering mogelijk is. Wel is er meerdere malen met de firma en het Zorginstituut gesproken om te onderzoeken wat de mogelijkheden zijn binnen het reguliere systeem. Helaas heeft de firma uiteindelijk besloten geen dossier in te dienen.

De leden van de PVV-fractie ontvangen signalen dat ouders hun kinderen aanmelden voor klinische trials met andere geneesmiddelen voor achondroplasie, omdat Voxzogo in Nederland niet wordt vergoed. Is de minister met deze signalen bekend?

Het kabinet heeft hierover geen meldingen ontvangen, maar is bekend met de ontwikkeling van andere geneesmiddelen voor de behandeling van achondroplasie.

Deze leden vinden het onwenselijk dat ouders zich door het ontbreken van toegang tot behandeling genoodzaakt voelen hun kind aan onderzoek te laten deelnemen. Hoe wordt gewaarborgd dat ouders een werkelijk vrije en goed geïnformeerde keuze kunnen maken, met duidelijke uitleg over de onzekerheden, risico's en mogelijke voordelen? Welke begeleiding krijgen zij daarbij? Welke afspraken gelden over voortzetting van de behandeling na afloop van een trial als een kind er baat bij heeft? Deelt de minister de mening dat deelname aan onderzoek geen oplossing is voor het vastgelopen vergoedingstraject van Voxzogo?

In Nederland gelden strenge wettelijke eisen voor medisch-wetenschappelijk onderzoek met patiënten. Elk onderzoek wordt vooraf onafhankelijk beoordeeld door een medisch-ethische toetsingscommissie. Ouders en hun kinderen worden door de behandelend arts of onderzoeker geïnformeerd over het onderzoek, waaronder het doel, de inhoud, de duur en de mogelijke risico's en nadelen van deelname. Meedoen is altijd vrijwillig, en de kinderen mogen op elk moment stoppen met deelname aan het onderzoek, zonder dat dit gevolgen heeft voor de verdere zorg. Verder moeten volgens de Verklaring van Helsinki vooraf afspraken worden gemaakt over eventuele voortzetting van een werkzame behandeling. De ethische commissie beoordeelt deze afspraken. Gratis verstrekking na beëindiging van het onderzoek is echter niet automatisch gegarandeerd. Het kabinet erkent dat deelname aan medisch-wetenschappelijk onderzoek geen oplossing biedt voor het besluit van de firma om geen vergoedingsaanvraag in te dienen. Tegelijkertijd onderstreept het kabinet het belang van wetenschappelijk onderzoek voor de ontwikkeling van betere behandelingen en nieuwe geneesmiddelen.

De minister spreekt de hoop uit dat andere geneesmiddelen voor achondroplasie snel beschikbaar komen. Wat is de actuele stand van de markttoelating en de voorbereiding van vergoedingsaanvragen voor deze middelen?

Volgens de Horizonscan geneesmiddelen[2] worden in de aankomende twee jaar, naar verwachting twee andere geneesmiddelen voor achondroplasie geregistreerd. Dit betreft infigratinib, die naar verwachting in oktober 2027 geregistreerd wordt en navepegritide die naar verwachting in november 2026 geregistreerd wordt. Voor navepegritide is inmiddels bekend dat er een positief advies[3] is gegeven vanuit de Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP). Eerder dit jaar heeft het Zorginstituut contact gehad met de leverancier van navepegritide om te laten weten open te staan voor een gesprek om nadere toelichting te geven over de vergoedingsprocedures. De leverancier is hier niet meer op in gegaan.

Hoe voorkomt zij dat ook deze trajecten vastlopen voordat een dossier is ingediend?

Het Zorginstituut staat altijd open voor een vroege indiening van een dossier, al voorafgaand aan een EMA-registratie, via de parallelle procedure. Daarnaast kan het Zorginstituut altijd in een gesprek met leveranciers van geneesmiddelen toelichting geven over de procedures van het Zorginstituut. Ook kan bij het Zorginstituut in een vroegtijdig stadium, een wetenschappelijk advies aangevraagd worden. Daarbij geeft het Zorginstituut vooraf advies over de insteek voor het in te dienen vergoedingsdossier. Hiermee wordt beoogd vooraf duidelijkheid te creëren over wat nodig en wat haalbaar is bij de indiening van het vergoedingsdossier. Vanwege de uitzonderlijke situatie van deze casus is het kabinet voornemens om de leveranciers van de nieuwe geneesmiddelen na registratie - bij uitzondering - actief te verzoeken om een vergoedingsdossier in te dienen bij het Zorginstituut. Maar het is en blijft uiteindelijk aan de leveranciers zelf om te besluiten of zij hun geneesmiddel in Nederland op de markt willen brengen en of ze dus een vergoedingsaanvraag in willen dienen.

Voxzogo is bedoeld voor kinderen bij wie de groeischijven nog niet zijn gesloten. Hoeveel Nederlandse kinderen dreigen hun behandelmogelijkheid te verliezen door het voortduren van de huidige impasse? Wat kan de minister juist voor deze kinderen op korte termijn doen?

[2] Home | Horizonscan geneesmiddelen

[3] Een officiële aanbeveling door het CHMP om een nieuw medicijn goed te keuren voor de Europese markt.

Volgens gegevens van de Horizonscan geneesmiddelen van het Zorginstituut zijn er in Nederland naar schatting 135 kinderen van 0 tot 17 jaar oud die zijn geboren met achondroplasie. Het kabinet roept de leveranciers van een geneesmiddel tegen achondroplasie op om tijdig een dossier in dienen bij het Zorginstituut, of bij vragen in gesprek te gaan hierover. Vanwege de uitzonderlijke situatie van deze casus is het kabinet voornemens om leveranciers van een nieuw geneesmiddel voor de behandeling van achondroplasie na registratie – bij uitzondering – actief te verzoeken om een dossier in te dienen.

De leden van de PVV-fractie hebben in hun eerdere inbreng over het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen ook gevraagd naar de gevolgen van het beleid voor maatschappelijk aanvaardbare uitgaven aan geneesmiddelen (MAUG) voor toegang tot weesgeneesmiddelen. Bij de burgerraadpleging voor MAUG zijn casussen over zeldzame ziekten besproken. Hoe is daarbij rekening gehouden met kleine patiëntengroepen, beperkte onderzoeksgegevens, gezondheidswinst op langere termijn en het ontbreken van behandelalternatieven? Zijn ouders van kinderen met zeldzame aandoeningen en hun behandelaars bij de uitwerking betrokken? Hoe worden hun ervaringen meegewogen?

Voor een meer gedetailleerde beschrijving van de methodiek, inclusie van deelnemers, de weging van hun inbreng en de uitkomsten verwijs ik u naar het gepubliceerde rapport[4].
De burgerraadpleging had als doel om inzicht te krijgen in de overwegingen die voor burgers een rol spelen bij het bepalen van de maatschappelijke aanvaardbaarheid van prijzen en uitgaven aan geneesmiddelen en welke zij daarbij meer of minder belangrijk vinden. Daarom is gekozen voor een aanpak waarbij een burgerforum met een kleiner aantal deelnemers is gehouden, waarna de bevindingen van dit forum getoetst werd bij een bredere, representatieve groep burgers via een online enquête onder 884 Nederlanders. Het burgerforum was samengesteld om uiteenlopende burgerperspectieven te verzamelen, niet als vertegenwoordiging van specifieke patiëntengroepen. In de consultatieronde van het gehele MAUG-advies zijn wel patiëntenorganisaties betrokken, waaronder de VSOP, patiënten federatie zeldzame aandoeningen. Hun inbreng is schriftelijk en tijdens consultatiebijeenkomsten besproken.

Is onderzocht of de voorgestelde prijs- en beoordelingscriteria ertoe kunnen leiden dat fabrikanten voor deze middelen geen aanvraag in Nederland indienen? Welke gevolgen heeft dit voor de toegang tot behandeling en welke maatregelen neemt de minister om dit te voorkomen?

[4] Radboudumc_Burgeronderzoek-Dure-Geneesmiddelen_Eindrapport.pdf

Het MAUG-advies schetst het genoemde risico, maar heeft hiernaar geen uitputtende analyse gedaan. Op basis van het MAUG-advies kan daarom geen inschatting worden gemaakt, maar evenmin worden onderbouwd of en zo ja, in welke mate firma's de Nederlandse patiënt een geneesmiddel zullen onthouden indien maatregelen uit het advies zouden worden genomen.
Hoewel het kabinet nog geen definitieve beleidsmaatregelen heeft genomen op grond van het MAUG-advies, blijven voor Nederland twee criteria leidend bij de toelating van een geneesmiddel tot het verzekerde pakket: de klinische waarde en de kosteneffectiviteit.
Bij de verdere uitwerking moeten de gevolgen voor toegang binnen deze kaders wel zorgvuldig worden meegewogen. Dit geldt in het bijzonder voor kleine patiëntengroepen waarvoor geen behandelalternatief beschikbaar is.

Tot slot vragen deze leden de minister om een concreet overzicht van de vervolgstappen voor Voxzogo, met per stap de verantwoordelijke partij en een termijn. Wat gaat de minister momenteel doen om de impasse te doorbreken? Nederlandse kinderen en hun ouders kunnen niet blijven wachten op nieuwe gesprekken of een toekomstig stelsel terwijl hun behandelmogelijkheid verdwijnt.

De afgelopen periode zijn er samen met het Zorginstituut verschillende inspanningen verricht om de leverancier te bewegen tot een vergoedingsaanvraag. Hierbij is de leverancier gewezen op zijn maatschappelijke verantwoordelijkheid. Desondanks heeft de leverancier inmiddels definitief de keuze gemaakt om geen vergoedingsdossier in te dienen. Het kabinet betreurt dat de leverancier deze keuze heeft gemaakt. Hoewel het kabinet dus heel graag een andere uitkomst had gezien, en de frustratie over de afhankelijkheid van de leverancier in dezen deelt, wil het wel benadrukken dat de mogelijkheden om dit besluit te beïnvloeden echt beperkt zijn. De leverancier kan niet worden verplicht tot het op de markt brengen van het geneesmiddel in Nederland en een vergoedingsaanvraag in te dienen. Het is daarnaast niet wenselijk om een uitzondering te maken voor Voxzogo, omdat we dit dan, uit oogpunt van gelijke behandeling, ook bij andere middelen zouden moeten doen. Daarmee zouden we de bijl zetten aan het vergoedingsbeleid dat erop gericht is voor het (uiteindelijk) beperkte budget zo veel mogelijk gezondheid voor de samenleving als geheel te realiseren. Dat betekent dat er op dit moment geen vergoeding mogelijk is van Voxzogo. Het kabinet hoopt dat de andere leveranciers van de geneesmiddelen voor achondroplasie, na toelating tot de Europese markt, snel een vergoedingsdossier indienen, en zal hen actief verzoeken dat te doen.

Vragen en opmerkingen van de leden van de BBB-fractie

De leden van de BBB-fractie hebben met belangstelling kennisgenomen van de kabinetsreactie op de motie-Maeijer over de vergoeding van het weesgeneesmiddel Voxzogo (Kamerstuk 29 689, nr. 1357).

Deze leden begrijpen dat de minister niet zomaar kan besluiten een geneesmiddel te vergoeden wanneer de fabrikant geen vergoedingsdossier indient. Een zorgvuldige beoordeling van de werkzaamheid, de gezondheidswinst en de kosteneffectiviteit van geneesmiddelen is belangrijk. Ook begrijpen zij dat de overheid kritisch moet kunnen onderhandelen over geneesmiddelenprijzen, om te voorkomen dat de betaalbaarheid van de zorg onder druk komt te staan. Tegelijkertijd vinden deze leden het bijzonder schrijnend wanneer er voor patiënten met een ernstige of zeldzame aandoening een behandeling bestaat, maar deze in Nederland niet beschikbaar komt. Achter iedere vergoedingsprocedure zitten immers patiënten en families voor wie een nieuwe behandeling van grote betekenis kan zijn. Zeker bij aandoeningen waarbij de gezondheid in de loop van de tijd achteruitgaat, kan wachten op een behandeling grote gevolgen hebben. De leden van de BBB-fractie vinden daarom dat het Nederlandse geneesmiddelenbeleid niet alleen moet zorgen voor betaalbare geneesmiddelen, maar ook voor een zo goed mogelijke toegankelijkheid van nieuwe behandelingen.

Naar aanleiding van 'De casus-Voxzogo'. De leden van de BBB-fractie lezen dat de fabrikant van Voxzogo, BioMarin, ervoor heeft gekozen geen vergoedingsdossier in Nederland in te dienen, omdat de fabrikant van mening is dat het Nederlandse beoordelingssysteem onvoldoende rekening houdt met de bredere gezondheidswinst van de behandeling. De minister geeft aan dat deze bewering zonder dossier niet door het Zorginstituut kan worden getoetst. De leden van de BBB-fractie begrijpen weliswaar deze redenering, maar vragen tegelijkertijd of hiermee alle mogelijkheden zijn onderzocht. Heeft de minister met BioMarin besproken of en zo ja, op welke wijze de door de fabrikant genoemde verbeteringen binnen de bestaande beoordelingssystematiek kunnen worden meegewogen. Wat heeft dit overleg opgeleverd? Zijn er nog mogelijkheden om de fabrikant alsnog te bewegen een volledig dossier in te dienen?

Er is meerdere malen gesproken met de firma en met het Zorginstituut. Daarbij heeft het Zorginstituut verduidelijkt dat in de beoordeling wel enige ruimte is voor maatwerk, en gekeken kan worden naar wat passend bewijs is. Bijvoorbeeld het gebruik van zogenaamde surrogaateindpunten waardoor op een eerder moment al iets gezegd kan worden over mogelijke effectiviteit in de toekomst. Ook kan het ontbreken van andere behandelopties worden meegewogen. Daarnaast is het echter ook van belang dat de kosten in

verhouding staan tot de gezondheidswinst. Het kabinet heeft begrepen dat in de landen waar een kosteneffectiviteitsanalyse is uitgevoerd, de kosteneffectiviteit (zeer) ongunstig is beoordeeld. Het kabinet ziet op dit moment binnen het reguliere systeem geen verdere mogelijkheden.

Welke lessen trekt de minister uit deze casus voor de toegankelijkheid van andere weesgeneesmiddelen? En hoe kan worden voorkomen dat vergelijkbare situaties zich in de toekomst opnieuw voordoen?

Het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen (TSG), waaraan het kabinet werkt, zou ertoe moeten leiden dat de vergoedingsprocedures voorspelbaarder worden voor leveranciers, en dat ook andere beheersmaatregelen genomen kunnen worden dan enkel financiële, om eventuele pakketrisico's te mitigeren. Mogelijk dat dit een situatie als bij Voxzogo voorkomt, omdat er meer ruimte is voor beheersmaatregelen, die passend zijn voor de specifieke risico's van een geneesmiddel. Verder werkt het Zorginstituut aan een aparte route voor ultraweesgeneesmiddelen, omdat het voor deze geneesmiddelen vaak niet haalbaar is om de (kosten)effectiviteit volgens de reguliere vereisten aan te tonen. De precieze afbakening van deze route wordt nog uitgewerkt, maar Voxzogo is bijvoorbeeld geen ultraweesgeneesmiddel. En ook daarbij blijft de bereidheid van de leverancier om een maatschappelijk aanvaardbare prijs overeen te komen van belang. Als een leverancier niet bereid is een prijs te accepteren die recht doet aan het advies van het Zorginstituut, kan de leverancier ook dan besluiten om geen dossier in te dienen.

Naar aanleiding van 'Beschikbaarheid van weesgeneesmiddelen in Nederland'. De leden van de BBB-fractie maken zich zorgen over de beschikbaarheid van nieuwe behandelingen voor patiënten met zeldzame aandoeningen. Volgens de EFPIA WAIT Indicator is slechts 39% van de tussen 2021 en 2024 geregistreerde weesgeneesmiddelen in Nederland beschikbaar. Hoe beoordeelt de minister dit percentage? Vindt zij dat Nederland hiermee voldoende toegang biedt tot nieuwe behandelingen voor zeldzame aandoeningen? Welke mogelijkheden ziet zij om de beschikbaarheid te verbeteren?

Het kabinet wil beginnen door erop te wijzen dat het doel niet is om zoveel mogelijk geneesmiddelen te vergoeden, maar om met het beschikbare geld zoveel mogelijk gezondheidswinst voor Nederlandse patiënten te bereiken. Het absolute aantal geneesmiddelen dat hier voor een indicatie beschikbaar is, ook relatief tot dat in andere landen, zegt dus niet zoveel.
Daarnaast heeft het Zorginstituut geconstateerd dat de beoordeling van de effectiviteit voor weesgeneesmiddelen niet vaker negatief uitvalt dan de beoordeling van de effectiviteit voor niet-weesgeneesmiddelen. Zo betrof ruim een derde (34%) van de geneesmiddelen die het Zorginstituut beoordeelde tussen begin 2023 en eind 2025, geneesmiddelen voor zeldzame

ziekten, zogeheten weesgeneesmiddelen. Ongeveer 90% daarvan (52 weesgeneesmiddelen) werd beoordeeld als bewezen effectieve zorg. Voor de helft hiervan adviseerde het Zorginstituut om over de prijs te onderhandelen. Tot op heden zijn, op twee na[5], alle weesgeneesmiddelen die voldoende effectief zijn bevonden, ook vergoed vanuit het basispakket. Het kabinet ziet wel de noodzaak van een specifiek traject voor ultraweesgeneesmiddelen omdat het voor deze geneesmiddelen vaak niet haalbaar is om de (kosten)effectiviteit volgens de reguliere vereisten aan te tonen. De precieze afbakening van deze route wordt nog uitgewerkt binnen het TSG.

In de beantwoording van Kamervragen van het lid Wiersma (BBB) van 31 augustus jl. geeft de minister aan dat de WAIT Indicator beperkingen kent, onder andere doordat na een positief vergoedingsbesluit nog tijd kan verstrijken voordat een geneesmiddel daadwerkelijk in de klinische praktijk wordt toegepast. Betekent dit dat het percentage weesgeneesmiddelen dat daadwerkelijk beschikbaar is voor Nederlandse patiënten nog lager ligt dan de genoemde 39 procent? Kan de minister inzichtelijk maken hoeveel van de geregistreerde weesgeneesmiddelen daadwerkelijk toegankelijk zijn voor patiënten in Nederland?

Het kabinet bedoelde in de beantwoording van de Kamervragen te zeggen dat het percentage middelen dat vergoed wordt in veel andere landen niet alles zegt, en dus niet goed bruikbaar is om lessen uit te trekken, omdat zoals gezegd een formele vergoedingsbeslissing niet altijd betekent dat patiënten dan ook daadwerkelijk (meteen of volledig) toegang hebben tot een geneesmiddel. Het kabinet houdt ook geen overzicht bij van het aantal weesgeneesmiddelen dat in Nederland daadwerkelijk wordt voorgeschreven. Het Zorginstituut heeft laten weten dat tussen begin 2023 en eind 2025 ongeveer 90% van de beoordeelde weesgeneesmiddelen (52 weesgeneesmiddelen) werd beoordeeld als bewezen effectieve zorg. Tot op heden worden, op twee na, alle weesgeneesmiddelen die voldoende effectief zijn bevonden, ook vergoed vanuit het basispakket.

De minister geeft in diezelfde beantwoording aan dat voor een deel van de geneesmiddelen die in Nederland niet worden vergoed, geen vergoedingsdossier is ingediend. Kan zij voor de afgelopen vijf jaar inzichtelijk maken bij hoeveel en welk aandeel van de nieuwe weesgeneesmiddelen dit het geval was? Is hierin een ontwikkeling zichtbaar?

Het kabinet houdt geen overzicht bij voor hoeveel middelen geen vergoedingsdossier is ingediend. Voor de meeste middelen geldt dat er kort na marktautorisatie nog geen vergoedingsdossier beschikbaar is, maar dat dit op een later moment alsnog wordt ingediend. De actuele situatie voor de

[5] Kamerstuk II 2026/27, 24178, 2026Z24178

sluisgeneesmiddelen is te zien in het dashboard doorlooptijden geneesmiddelen[6].
De situatie waarin een leverancier laat weten definitief geen dossier in te dienen, heeft zich slechts één keer voorgedaan.

Heeft de minister inzicht in de redenen waarom fabrikanten besluiten geen dossier in Nederland in te dienen? En in hoeverre spelen de Nederlandse beoordelingsprocedure, de verwachte doorlooptijd en de vergoedingsvoorwaarden daarbij een rol?

Het Zorginstituut laat weten dat het in Nederland slechts zelden voorkomt dat een leverancier geen aanvraag indient voor vergoeding vanuit het basispakket. Hoewel de prijzen van weesgeneesmiddelen vaak hoog zijn in verhouding tot hun effectiviteit, betekent dit niet automatisch dat het Zorginstituut negatief adviseert over vergoeding. De samenleving is immers geregeld bereid een hoge prijs te betalen voor geneesmiddelen die effectief zijn voor patiënten.

Naar aanleiding van 'Toegankelijkheid en toekomstige beoordeling'. De leden van de BBB-fractie begrijpen dat ook bij weesgeneesmiddelen zorgvuldig moet worden gekeken naar de verhouding tussen de kosten en de gezondheidswinst. Tegelijkertijd kenmerken deze geneesmiddelen zich vaak door kleine patiëntengroepen, beperkte onderzoeksgegevens en hoge ontwikkelkosten. Juist daardoor kan het moeilijk zijn om de kosteneffectiviteit op dezelfde wijze vast te stellen als bij geneesmiddelen van veelvoorkomende aandoeningen.
Binnen het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen krijgt het Zorginstituut een grotere rol bij de beoordeling van nieuwe geneesmiddelen en zal kosteneffectiviteit zwaarder meewegen. Welke gevolgen verwacht de minister hiervan voor de beschikbaarheid en toegankelijkheid van weesgeneesmiddelen? Hoe wordt voorkomen dat patiënten met zeldzame aandoeningen hierdoor langer moeten wachten op nieuwe behandelingen of dat fabrikanten besluiten hun geneesmiddelen niet meer voor vergoeding in Nederland aan te bieden?

Het is niet de verwachting dat het TSG leidt tot langere procedures voor weesgeneesmiddelen. Het TSG is juist bedoeld om de toegang tot effectieve geneesmiddelen waar mogelijk te versnellen, door procedures te stroomlijnen en harmoniseren, leidend tot een meer voorspelbaar systeem. Er zal risicogericht bekeken worden, in samenspraak met veldpartijen waaronder patiëntenverenigingen, hoe uitgebreid een beoordeling uitgevoerd moet worden en welke acties er nodig zijn om een geneesmiddel toe te laten tot het pakket. Beheersmaatregelen kunnen naast financieel ook gericht zijn op gepast gebruik en effectiviteit. Binnen het traject is het doel om zo snel

[6] Dashboard Doorlooptijden Geneesmiddelen | Farmatec

mogelijk duidelijkheid te geven over de dossiervereisten, zodat de beoordeling en besluitvorming zo snel mogelijk kunnen plaatsvinden. Bovendien wordt binnen het TSG een nieuwe route voor ultraweesgeneesmiddelen geïntroduceerd omdat het voor deze geneesmiddelen vaak niet haalbaar is om de (kosten)effectiviteit volgens de reguliere vereisten aan te tonen.

De leden van de BBB-fractie vragen daarbij of het huidige beoordelingssysteem voldoende mogelijkheden biedt om de bijzondere omstandigheden van zeldzame aandoeningen mee te wegen, waaronder de beperkte omvang van patiëntengroepen en de mogelijke betekenis van een behandeling voor de kwaliteit van leven en het dagelijks functioneren van patiënten.

Zoals aangegeven in de brief over de vergoeding van weesgeneesmiddelen[7] maakt het kabinet onderscheid tussen weesindicaties met grotere aantallen patiënten en ultra-wees indicaties waarbij soms slechts sprake is van enkele tientallen patiënten in Nederland. Dit heeft namelijk consequenties voor de mogelijkheid tot beoordeling van (kosten)effectiviteit. Zoals uitgelegd in genoemde brief is het beoordelingskader geschikt om ook bij weesgeneesmiddelen te komen tot een positief oordeel over de effectiviteit. Het Zorginstituut kan bij de beoordeling van (wees)geneesmiddelen rekening houden met contextuele factoren. Hiermee wordt bedoeld dat het Zorginstituut voor het bepalen van de effectiviteit rekening kan houden met specifieke kenmerken van het middel, waaronder de ernst van de aandoening of het ontbreken van andere behandelopties. Bij zeer kleine patiëntengroepen (we spreken dan van ultra-weesgeneesmiddelen), is het aantonen van (kosten)-effectiviteit volgens de reguliere vereisten vaak niet haalbaar.

Naar aanleiding van 'Uitvoering moties en eerdere toezeggingen'. De leden van de BBB-fractie vragen welke concrete stappen de minister zet ter uitvoering van de motie-Vervuurt (Kamerstuk 29 689, nr. 1345). Kan zij aangeven welke maatregelen inmiddels zijn genomen en welk tijdpad zij voor de verdere uitvoering voorziet?

De uitwerking van deze motie loopt mee in het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen (TSG). Het Zorginstituut heeft voorgesteld een aparte route voor ultra-weesgeneesmiddelen te introduceren binnen het TSG. De precieze afbakening en beoordelingsprocedure van deze geneesmiddelen worden door het Zorginstituut opgesteld en worden benoemd in de uitvoeringstoets die in november wordt opgeleverd. Veldpartijen zijn actief en structureel betrokken bij de totstandkoming van de uitvoeringstoets. Op basis van de uitvoeringstoets besluit het kabinet of met het TSG kan worden doorgegaan

[7] Kamerstukken II 2025/26, 29477, nr. 976.

naar de implementatiefase. Het voorstel van het kabinet hiervoor wordt opgenomen in de Kamerbrief die in het eerste kwartaal van 2027 aan de Kamer wordt verstuurd.

Tijdens het commissiedebat Zorgverzekeringsstelsel van 10 juni jl. heeft de minister toegezegd de Kamer te informeren over mogelijke maatregelen om fabrikanten te stimuleren vergoedingsdossiers in Nederland in te dienen. Wanneer kan de Kamer deze informatie verwachten? Wordt daarbij ook onderzocht welke belemmeringen fabrikanten ervaren en hoe deze, zonder afbreuk te doen aan een zorgvuldige beoordeling, kunnen worden weggenomen?

De minister deed de toezegging in het kader van de ontwikkeling van het TSG. Het Zorginstituut is in dat kader momenteel bezig met een uitvoeringstoets, waarbij veldpartijen geconsulteerd worden over de nieuwe uitgangspunten en procedures van het TSG. De reactie van het veld op de consultatie, waaronder de industrie, betrekt het kabinet bij beslissingen over het vervolg van TSG. Het kabinet zal dit verder toelichten in de Kamerbrief over TSG die in het eerste kwartaal van 2027 aan de Kamer wordt gestuurd.

Naar aanleiding van 'Internationale ontwikkelingen'. Tot slot hebben de leden van de BBB-fractie vragen over de internationale ontwikkelingen op de geneesmiddelenmarkt. In de VWS-begroting van 2027 wordt een verkenning aangekondigd naar de mogelijkheden om het geneesmiddelenvergoedingssysteem en de Wet geneesmiddelenprijzen beter te laten aansluiten op geopolitieke veranderingen. Wordt bij deze verkenning ook gekeken naar de gevolgen van het Amerikaanse Most-Favored Nation-prijsbeleid voor de introductie van nieuwe geneesmiddelen in Europa?

De geopolitieke ontwikkelingen, waaronder het Amerikaanse Most Favored Nation beleid, maakt dat het belangrijker wordt om voldoende wendbaar te zijn. Dit is reden om bij de herzieningen van de Wet geneesmiddelenprijzen (Wgp) en het geneesmiddelenvergoedingssysteem (GVS) onnodige prijsdruk, marktverschraling en beschikbaarheidsproblemen als gevolg van overheidsinstrumenten in beginsel tegen te gaan. Waar voldoende marktwerking bestaat, kunnen wettelijke maximumprijzen en vergoedingslimieten een goed functionerende markt namelijk verstoren. Door daar minder te reguleren, ontstaat meer ruimte voor concurrentie en doelmatige inkoop, maar ook bijvoorbeeld om (al dan niet tijdelijk) mee te bewegen met kostenstijgingen als gevolg van bijvoorbeeld een hogere olieprijs. Dit past ook in het kabinetsbeleid om onnodige regels te schrappen. Waar onvoldoende concurrentie bestaat, blijft de overheid prijzen reguleren om geneesmiddelen betaalbaar te houden. Omdat deze wijzigingen

budgettaire consequenties kunnen hebben, waarvoor op dit moment nog geen dekking bestaat, bekijkt het kabinet momenteel de mogelijkheden voor financiële dekking.

Ziet de minister het risico dat fabrikanten door internationale prijsontwikkelingen ervoor kiezen nieuwe geneesmiddelen later of helemaal niet in Nederland beschikbaar te stellen? Welke mogelijkheden heeft Nederland om dit risico te beperken? Wanneer ontvangt de Kamer de resultaten van deze verkenning?

Hoewel het kabinet op dit moment geen concrete nationale of Europese signalen heeft over significante prijsverhogingen of het uitstellen van marktintroducties van geneesmiddelen, volgt het kabinet de geopolitieke ontwikkelingen op de voet. Het kabinet ziet het risico dat genoemd wordt, maar wijst erop dat voor Nederland de kosteneffectiviteit leidend blijft bij besluiten over de vergoeding van geneesmiddelen, zodat premiegeld ook daadwerkelijk bijdraagt aan gezondheidswinst voor burgers. Wel ziet het kansen om het vergoedingssysteem efficiënter te maken en waar mogelijk de toegang tot nieuwe middelen te versnellen. Daarvoor werkt het kabinet aan het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen, dat het systeem meer moet stroomlijnen en harmoniseren. Het is daarnaast van groot belang dat we als Nederland samen met de andere Europese lidstaten blijven samenwerken en als blok opereren. Europees werken we met andere lidstaten aan een bredere samenwerkingsagenda, in Beneluxa-verband maar ook breder. Daarnaast is het belangrijk om het concurrentievermogen van de Europese markt te ondersteunen. Daarom worden op Europees niveau acties ondernomen, denk bijvoorbeeld aan het Farmapakket, de Biotech Act en de Critical Medicines Act.
Er wordt tenslotte nationaal ook gewerkt aan het ondersteunen van het Nederlandse innovatieklimaat, bijvoorbeeld met de Taskforce Toekomstige Welvaart en Vestigingsklimaat (TTWV). Bovendien overleg ik intensief met de minister van Economische Zaken en Klimaat om binnen mijn mogelijkheden het investerings- en innovatieklimaat in Nederland te helpen verbeteren, daar waar dat nodig is. Het kabinet zal de Kamer uiterlijk in het eerste kwartaal informeren over de herziening van het GVS en de Wgp.

Vragen en opmerkingen van de leden van de SP-fractie

De leden van de SP-fractie hebben kennisgenomen van de reactie op de motie van het lid Maeijer over voor het zomerreces met de fabrikant van Voxzogo om tafel gaan om te komen tot indiening van het dossier bij het Zorginstituut. Zij hebben hier nog enkele vragen en opmerkingen over.

De leden van de SP-fractie spreken hun ongenoegen uit over het feit dat kinderen met achondroplasie in Nederland, in tegenstelling tot in andere Europese landen geen toegang hebben tot dit belangrijke medicijn. Zij vragen de minister daarom welke redenen de fabrikant heeft gegeven om in Nederland geen vergoedingsdossier te willen indienen.

Zoals eerder benoemd, in antwoord op de motie van het lid Maeijer over deze casus[8], heeft de leverancier aangegeven geen vergoedingsdossier voor Voxzogo in Nederland te willen indienen omdat hij "de reguliere vergoedingsroute een te restrictief kader" vindt omdat deze "de meerwaarde van behandelingen voor kinderen met zeldzame genetische aandoeningen, zoals achondroplasie, aanzienlijk onderschat". De situatie is teleurstellend voor patiënten met deze aandoeningen, maar helaas is het besluit van de leverancier hierover definitief. Het kabinet heeft zoals ook eerder toegelicht verder geen mogelijkheden om hier wat aan te doen.

De leden van de SP-fractie benadrukken daarnaast dat de problemen rondom de beschikbaarheid van Voxzogo duidelijk maken dat het geneesmiddelenstelsel in Nederland veel te afhankelijk is van commerciële farmaceutische bedrijven. Hoe kijkt de minister hiernaar?

Geneesmiddelenontwikkeling is, mede door de hoge eisen aan kwaliteit, veiligheid en effectiviteit die wij daaraan stellen, een kostbare, risicovolle en kennisintensieve bezigheid. Dat is één van de redenen dat meestal farmaceutische bedrijven nodig zijn om een geneesmiddel naar de markt te brengen, en dat er investeerders nodig zijn om geld te steken in die ontwikkeling. En om die investeerders aan te trekken is weer bescherming van intellectueel eigendom en marktexclusiviteit nodig, zodat de investeringen binnen een redelijke termijn kunnen worden terugverdiend, inclusief een winstmarge die het mogelijk maakt om vervolginvesteringen te doen. Het kabinet ziet dat er veel nieuwe geneesmiddelen worden ontwikkeld, soms met spectaculaire resultaten qua effectiviteit. Het kabinet is daarom van mening dat het systeem zijn werk doet, ook al leidt dat tot monopolies en dus hoge prijzen. Maar dat betekent natuurlijk niet dat het kabinet zomaar bereid is elke prijs te betalen. Een innovatie moet uiteindelijk wel gericht zijn op het realiseren van gezondheidswinst. Dat is de reden dat de waarde, uitgedrukt in de gezondheidswinst, centraal staat in de bereidheid te betalen. Hoe hoger de gezondheidswinst van een innovatie en hoe ernstiger de ziekte waarvoor deze ontwikkeld is, hoe hoger de bereidheid te betalen. Deze benadering is dus niet alleen ingegeven vanuit de noodzaak om de zorguitgaven, waaronder die aan geneesmiddelen, te beheersen, maar ook om vraag-gestuurde innovatie te stimuleren. Zodat geneesmiddelenontwikkeling zich richt op de maatschappelijke behoefte, in plaats van het grootste winstpotentieel.

[8] Zie Kamerstukken 29689, nr. 1357.

Welke stappen gaat zij zetten om ervoor te zorgen dat patiënten niet meer overgeleverd zijn aan de grillen van op winst beluste bedrijven voor belangrijke geneesmiddelen zoals Voxzogo?

Het kabinet zet met het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen in op een meer eenduidige en voorspelbare procedure, wat er ook toe moet leiden dat Nederland aantrekkelijk genoeg blijft voor leveranciers om een middel snel op de markt te brengen en een vergoedingsdossier in te dienen.