

Jaarverslag

Jaarverslag 2023



Inhoudsopgave

| | |
|--|----|
| Voorwoord | 3 |
| Expertisecentrum FAST | 4 |
| 1. Drug repurposing | 7 |
| 2. Cel- en gentherapie (ATMP's) | 10 |
| 3. Medische isotopen | 12 |
| 4. Zeldzame ziekten | 14 |
| 5. Infectieziekten | 17 |
| | |
| Bijlagen | |
| 1. Verantwoording toezeggingen in kamerbrief 7 maart 2023 | 20 |
| 2. Financiële verantwoording over 2023 | 28 |

Colofon

FAST (Centre for Future Affordable Sustainable Therapy Development) bevordert het sneller en slimmer ontwikkelen, produceren en beschikbaar stellen van nieuwe therapieën voor patiënten op een wijze die toekomstgericht, duurzaam en betaalbaar is. Dit is mogelijk door te experimenteren met nieuwe technologieën en methoden voor geneesmiddelenonderzoek, en validatie en toepassing te faciliteren met de wensen en behoeften van de patiënt als uitgangspunt. Zo maken we Nederland toonaangevend in geneesmiddelenontwikkeling en ons land aantrekkelijk voor hoogwaardige geneesmiddelenonderzoek met in het kielzog hoogwaardige productie, bedrijvigheid en werkgelegenheid.

www.fast.nl

Mei 2024 FAST (Centre for Future Affordable Sustainable Therapy Development)

Voorwoord

Beste lezer,

Met trots presenteren wij het jaarverslag van 2023 van FAST, het nationaal expertisecentrum van en voor veldpartijen op het gebied van innovatieve therapieontwikkeling. Terwijl wij dit voorwoord schrijven, staat de wereld voor talloze uitdagingen op het gebied van gezondheidszorg en duurzaamheid. FAST gaat deze uitdagingen aan door samen te werken met diverse belanghebbenden. Zowel nationaal als internationaal.

Het afgelopen jaar hebben wij ons ingezet het ecosysteem rondom therapieontwikkeling te versterken, in de overtuiging dat veldpartijen het beste weten welke knelpunten moeten worden aangepakt en wat mogelijke oplossingen zijn. Patiënten staan hierbij centraal, hun perspectief vormt de kern van onze inspanningen. Als FAST geloven wij sterk dat het betrekken van het patiëntenperspectief bij het oplossen van knelpunten leidt tot een betere aansluiting tussen innovatie en betaalbaarheid.

Een jaar geleden ontvingen we een Kamerbrief van het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (VWS) en het ministerie van Economische Zaken en Klimaat (EZK), die de noodzaak van FAST benadrukte. De erkenning vanuit de ministeries versterkte onze missie om het hoge niveau van medische en farmacologische kennis en ondernemerschap in Nederland ten volle te benutten ten behoeve van patiënten.

FAST werkt voor en door het veld. Wij zien onszelf als facilitatoren van samenwerking en bruggenbouwers tussen diverse belanghebbenden. Met als doel een platform te creëren waarop kennis en expertise wordt gedeeld, gezamenlijk wordt geëxperimenteerd en innovatieve oplossingen worden gevonden.

Het versterken van het ecosysteem waarin we opereren is een prioriteit voor FAST. We gaan graag uitdagingen aan. Daarbij erkennen we het belang van de internationale context en streven naar meer internationale samenwerkingen.

Alle medewerkers, partners en stakeholders van FAST, bedankt voor jullie inzet en betrokkenheid. Met dit jaarverslag bieden we een inkijkje in wat we hebben bereikt in 2023 en waar onze focus voor de toekomst ligt.

Wij kijken uit naar wat we in de toekomst nog meer gaan bereiken.

Met vriendelijke groet,

FAST Board

Huib Pols
Clémence Ross-van Dorp,
Annemiek van Rensen
Paul Korte en
Paul Smits

Expertisecentrum FAST

Centre for Future Affordable Sustainable Therapy Development

Veilige, werkzame en toegankelijke nieuwe geneesmiddelen zijn van grote waarde voor individuele patiënten en de samenleving als geheel. FAST wil het proces van therapieontwikkeling versnellen en verbeteren en hiermee het veld helpen om zoveel mogelijk ziektes te voorkomen, bestrijden en genezen. Sleutelwoorden hierbij zijn: samenwerking, innovatie, betaalbaarheid en patiëntparticipatie.

We pakken kansen om te versterken wat goed gaat en zoeken oplossingen voor knelpunten die we op nationaal en internationaal niveau in kaart brengen. Enerzijds door innovatoren te ondersteunen, anderzijds door te experimenteren met nieuwe oplossingsrichtingen en samenwerkingsvormen. Altijd op basis van actuele casuïstiek en in samenwerking met het veld. De focus van FAST is gericht op de juiste balans tussen innovatief ondernemerschap en toegankelijke, betaalbare zorg.

Er liggen grote kansen om therapieontwikkeling te innoveren en versnellen op de volgende gebieden: drug repurposing, cel- en gentherapie, medische isotopen, zeldzame ziekten en infectieziekten.

Wegwijsfunctie

Rondom deze gebieden bouwen wij aan een wegwijsfunctie. Bij veel partijen, die nieuwe therapieën ontwikkelen en nu vastlopen in het bestaande systeem, is grote behoefte aan een nationale wegwijzer. Een partij die hen in contact brengt met de juiste instanties, andere academische groepen, faciliteiten of investeerders. Om die reden ontwikkelden wij een wegwijsfunctie met een informatiebank en vraagportaal voor op maat advies¹.

Via de wegwijsfunctie ontvingen wij in 2023 36 vraagstukken over specifieke casussen, systeemvragen (financiering, betaalbaarheid, ontwikkeling en implementatie van innovatieve routes/methoden) en vragen over samenwerking. Onder de bezoekers zijn academische ontwikkelaars die zich bezighouden met drug repurposing of ATMP's voor kleine patiëntenpopulaties. Begin 2024 is een traject gestart om de wegwijsfunctie verder te optimaliseren met digitale producten tot een forum waar op een innovatieve wijze vraag en antwoord bij elkaar kan komen.

¹ <https://www.fast.nl/signposts>

Hubs

Ook werken we aan netwerkinfrastructuren in de vorm van FAST-hubs. Hierbinnen werken publieke en private partijen samen en wordt kennis en expertise gebundeld en ontsloten via de wegwijsfunctie. Ook creëren we ruimte om met casuïstiek te experimenteren, bijvoorbeeld over hoe innovatie en betaalbaarheid beter samengaan. Op een aantal focusgebieden: zeldzame ziekten, infectieziekten, medische isotopen en cel- en gentherapie, ondernamen we in 2023 verschillende initiatieven om verbindingen te leggen tussen partijen en inventariseerden we de behoefte aan ondersteuning om therapieontwikkeling op die terreinen te versterken. In de aankomende periode worden deze initiatieven gebundeld tot nieuwe FAST-hubs.

Internationale samenwerking

Internationale samenwerking stelt FAST in staat toegang te krijgen tot een breder scala aan expertise, ervaringen en middelen die mogelijk niet beschikbaar zijn binnen nationale grenzen. Het delen van kennis, technologieën en infrastructuur versnelt de ontwikkeling en implementatie van innovatieve therapieën.

In het kader van internationale samenwerking heeft FAST namens Nederland zitting in de Board of Governors van EATRIS, de Europese infrastructuur voor Translational Sciences. FAST en EATRIS delen duidelijke parallellen in hun doelstellingen en werkwijze. De samenwerking biedt een waardevolle kans nationale expertises te bundelen en gezamenlijk te werken aan internationale projecten². Hierdoor wordt de weg naar klinische studies op een efficiënte en effectieve wijze bewandeld. Zo werken wij nauw samen met het door EATRIS gecoördineerde en EU-gefinancierde project rondom drug repurposing (REMEDIA4ALL), inclusief het door ZonMw gecoördineerde funders-netwerk.

In juni ging FAST met meer dan 52 Nederlandse bedrijven mee met de economische missie naar Boston. Deze was onder leiding van Micky Adriaansens, van het ministerie van EZK en Ernst Kuipers, van het ministerie van VWS. Er werden bedrijven en organisaties bezocht, waaronder de BIO International Convention 2023, nieuwe partnerschappen opgebouwd en kennis gedeeld.

Voorwaarden

In alle trajecten die FAST initieert is betekenisvolle patiëntenparticipatie ingebed. Een werkwijze³ waarin we actief het gesprek opzoeken met vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties om hun vraag boven tafel te krijgen (ook als die ons niet vanzelf bereikt). Ook organiseren we actief patiëntenvertegenwoordiging in de relaties die we aangaan en activiteiten die we initiëren. Samen met PGO-support ontwikkelden we online kennismodules⁴ om een brede groep patiëntenvertegenwoordigers bekend te maken met het traject van het ontwikkelen van geneesmiddelen. Van de vroege onderzoeksfase tot en met opname in een verzekeringspakket.

2 <https://www.fast.nl/news/anton-ussi-eatris-academie-en-bedrijfsleven-kunnen-nog-beter-samenwerken-voor-de-europese-patient>

3 <https://www.pgosupport.nl/nieuws/expertisecentrum-geneesmiddelenontwikkeling-stelt-patient-centraal>

4 <https://www.pgosupport.nl/cursussen/van-molecuul-naar-medicijn-online-leerlijn>

De voorwaarden voor succesvolle ontwikkeling van innovatieve en betaalbare therapieën in Nederland moeten gunstig zijn, hier draagt FAST graag aan bij. Daarom houden wij Europese wetgeving goed in de gaten. Zijn er zaken die mogelijk anderszins stagnerend werken voor het pad dat therapeutische innovaties naar de patiënt moeten afleggen? Dan geven wij strategisch advies aan Nederlandse onderhandelaars. Zo droegen wij bij aan het identificeren van mogelijke kansen, uitdagingen en oplossingen ter bevordering van een innovatievriendelijk en toekomstbestendig kader voor onderzoek naar en ontwikkeling en productie van geneesmiddelen (technologieën) in Europa. Dit was vervolgens input op de voorgestelde nieuwe Europese wet- en regelgeving voor geneesmiddelen.

Er zijn verschillende mogelijkheden om bij te dragen aan versnelling van therapieontwikkeling. New Approach Methodologies (NAMs) is een verzamelnaam voor technieken in de geneesmiddelontwikkeling die niet gebaseerd zijn op proefdieren of proefpersonen. FAST wil het gebruik ervan stimuleren omdat NAMs de potentie hebben in een vroeger stadium van de ontwikkeling vast te stellen of een middel veilig en effectief is. Dit vergroot het rendement van de (klinische) geneesmiddelontwikkeling en brengt middelen sneller bij de patiënt, tegen minder kosten. FAST zit daarom in de NAMs adviesraad van het Regulatory Science Network Netherlands (RSNN). In 2023 werd een expertmeeting met publieke en private stakeholders georganiseerd, waarin werd geïnventariseerd wat de stand van zaken is en welke barrières een bredere toepassing van NAMs in de weg staan, dit leidde tot een landschapsanalyse NAMs die het RIVM ontwikkelde⁵.

Ook stelde FAST, op het gebied van maatschappelijk verantwoord licentiëren (MVL), samen met NFU, UNL, HollandBio, ZonMw en ReumaNederland een leidraad⁶ op voor het toepassen van MVL-principes door mogelijkheden en onmogelijkheden van licenties in het Life Science & Health-domein te schetsen.

5 https://www.rsn.nl/sites/rsnn/files/2023-11/Report_RSNN_Expert_Meeting_NAMs_20230523_FINAL.pdf

6 <https://www.fast.nl/trajects/leidraad-maatschappelijk-verantwoord-licentiëren-mvl>

1. Drug repurposing

Snelle route naar betaalbare en nieuwe behandelingen



Drug repurposing is het (door)ontwikkelen van een bestaand geneesmiddel voor een andere indicatie. Potentieel is dit een effectieve route omdat het ontwikkeltraject relatief korter en goedkoper is dan voor de traditionele innovatieve geneesmiddelen. Ondanks een aantal knelpunten is het belangrijk dat deze route gezien gaat worden als een reguliere ontwikkelingsroute. FAST onderzoekt de knelpunten op het gebied van drug repurposing en wijst op oplossingsrichtingen.

Impact 2023

Wat hebben we gedaan?

Met drug repurposing worden bestaande therapieën toegepast op de behandeling van andere ziektebeelden. Een van de voordelen is dat het vele malen goedkoper wordt om op deze manier een therapie te ontwikkelen dan via een traditioneel ontwikkeltraject. Het middel is tenslotte al geregistreerd en er is al veel over bekend en gedocumenteerd. Alleen moet de nieuwe toepassing nader worden onderzocht. Om van drug repurposing een echt succes te maken moet nog veel in onderzoek worden geïnvesteerd en moeten er registratie- en vergoedingsdossiers worden opgebouwd voor echte casuïstiek.

FAST is met partners gestart met de ontwikkeling van de hub RARE-NL. Binnen RARE-NL ligt de focus op kennis en kunde op het gebied van zeldzame ziekten en drug repurposing. In deze netwerkinfrastructuur nemen we academische partijen, bedrijven, patiënten, zorgverzekeraars en overheden mee aan de hand van echte casuïstiek. We omschrijven in concrete gevallen welke moeilijkheden we tegenkomen en wat wel en wat niet te doen. Daarmee werken we, van case naar systeem, aan systeemverandering.

FAST-position paper

In de position paper⁷ 'Drug repurposing als snelle route naar betaalbare nieuwe behandelingen' staat het belang van het systemisch inbouwen van een gezonde en redelijke business case voor drug repurposing centraal. Hierin stellen wij oplossingsrichtingen voor, die vervolgens zijn gepresenteerd aan toenmalig minister Kuipers. Een sprekend voorbeeld uit de paper is de colchicine-case, waarbij een succesvol repurposed medicijn in de USA geregistreerd is door een bedrijf dat niet investeerde in het onderzoek dat hiervoor nodig was. Bovendien is de prijs in de USA vele malen hoger dan wat Nederlandse bedrijven, die wel investeerden in dit onderzoek, nodig hadden voor een gezond verdienmodel. Zonder uitzicht op een voorspelbaar verdienmodel, beperkt drug repurposing zich vooral tot daar waar exclusiviteit mogelijk is. Zo worden deze therapieën mogelijk gekaapt en voor een veelvoud van de prijs in de markt gezet, in plaats van juist het mogelijk maken van goedkope effectieve behandelingen. In een podcastserie⁸ bespreken we meerdere oplossingsrichtingen met relevante stakeholders.

'Een gezond verdienmodel voor drug repurposing is nodig om het enorme potentieel van betaalbare behandelingen voor patiënten beschikbaar te maken'

7 <https://www.fast.nl/wp-content/uploads/2023/12/FAST-Position-paper-Drug-repurposing-Toegankelijk.pdf>

8 <https://www.fast.nl/trajects/podcastserie-drug-repurposing>

Doel 2024**Nog meer impact**

FAST organiseerde, op verzoek van het ministerie van VWS, een ronde tafel⁹ om inzicht te krijgen in de ontwikkeling van drug repurposing, aan de hand van colchicine bij coronair lijden. Meerdere repurposing cases uit verschillende umc's worden ondersteund in de verdere ontwikkeling, inclusief het vormen van publiek-private partnerschappen.

Waar gaan we naartoe?

Door verbinding te leggen met het Europese veld werken we aan het optimaliseren van routes en dragen we bij aan het volledig benutten van de potentie van drug repurposing. Zo verzorgde FAST tijdens het eerste congres van het REMEDI4ALL-project¹⁰ van EATRIS, een panel van internationale gasten. De casuïstiek van drug repurposing van colchicine werd in panelvorm besproken met het veld.

Met onze hub RARE-NL werken we aan de hand van aan concrete casuïstiek aan mogelijke randvoorwaarden en oplossingsrichtingen. Zo brengen we met Reuma-Nederland zeven drug repurposing trajecten in kaart die mogelijk bijdragen aan de behandeling van artrose.

9 <https://www.fast.nl/news/update-rondetafelgesprek-colchicine-repurposing-casus-en-oplossingsrichtingen>

10 <https://www.fast.nl/trajects/repurposing-medicines-for-all-remedi4all>

2. Cel- en genterapie (ATMP's)

Samen op weg van ongeneeslijke naar geneesbare ziekten



Cel- en genterapie, ook wel aangeduid als Advanced Therapy Medicinal Products, zijn veelbelovende behandelingen die gebruikmaken van onze cellen, of de genetische informatie in onze cellen, om ziekten te behandelen of te genezen. Een voorbeeld hiervan is het modificeren van stamcellen van patiënten met een erfelijke bloedziekte. ATMP's kunnen levensverlengend en soms zelfs genezend zijn. Deze hoopgevende nieuwe therapieën inspireren FAST om verder op in te zetten.

Impact 2023

Wat hebben we gedaan?

In het veld van cel- en genterapie zien we dat partijen nog vaak geïsoleerd opereren. Dit werd onder andere duidelijk tijdens de dialoogworkshop¹¹ die FAST in 2023 organiseerde samen met de trekkers van de Nationale Wetenschapsagenda (NWA) route Regeneratieve Geneeskunde. Er is nog geen gedeeld begrip bij alle stakeholders van de (toekomstige) uitdagingen en oplossingen. Bij ATMP's draait het grotendeels om de belofte van het genezen van tot nog toe ongeneeslijke aandoeningen. Dankzij nieuwe moleculaire technologieën wordt dit steeds meer werkelijkheid, maar wat is ieders rol in de verwezenlijking van deze belofte?

¹¹ <https://www.fast.nl/news/innovatieve-geneesmiddelen-oplossingen-voor-financiering-en-vergoeding>

Om hier meer duidelijkheid over te krijgen is op initiatief van FAST het 'Regulatoire Pandemische Paraatheid' programma gestart bij ZonMw. Een onderdeel daarvan omvatte een veldverkenning, knelpuntenanalyse en activiteitenkaart voor de ontwikkeling van ATMP's in Nederland. Deze opdracht is afgerond en gepubliceerd in februari 2024¹². Eén van de conclusies is dat in het veld behoefte is aan een wegwijsfunctie en ruimte om te pionieren hoe deze veelal complexe therapieën op een veilige maar snelle manier bij patiënten te krijgen.

In dat kader werkt FAST samen met een breed scala aan publieke en private veldpartijen aan een nieuw handboek voor de ontwikkeling van ATMP's. Door het verzamelen van input bij veel verschillende stakeholders wordt het handboek breed toegankelijk gemaakt. De gezamenlijke aanpak hierbij is minstens zo belangrijk als het uiteindelijke product. Naar verwachting wordt het handboek in de tweede helft van 2024 opgeleverd.

Doel 2024

Waar gaan we naartoe?

Als we willen dat ATMP's beschikbaar en toegankelijk worden en blijven voor patiënten, dan moeten we dit samen doen. Een breed draagvlak vanuit het veld is daarom essentieel, en vormt meteen de uitdaging én de ambitie van FAST. We streven ernaar om in een snel ontwikkelend, intensief en dynamisch veld met tal van stakeholders samen te werken om ATMP's beschikbaar en betaalbaar te maken.

'Samen creëren we de weg naar betaalbare en levensveranderende behandelingen voor iedereen'

In 2024 gaan we verder onderzoeken of en hoe we op nationaal niveau een netwerk voor ATMP's kunnen vormen. We willen een nationale entiteit creëren onder de vlag van FAST-hub ATMP-NL, waarin het veld wordt verenigd. Daarbij onderzoeken we verschillende mogelijkheden, waarbij we ons ook laten inspireren door voorbeelden uit het buitenland.

¹² <https://www.rsnn.nl/sites/rsnn/files/2023-12/UU%20UMCU%20-%20Geneesmiddelen%20voor%20Geavanceerde%20Therapie%20%28ATMP%27s%29%20in%20Nederland%20-%20Dec2023.pdf>

3. Medische isotopen

Radioactieve stoffen voor diagnostiek en behandeling



Nucleaire geneeskunde maakt gebruik van medische isotopen voor diagnostiek en behandeling van patiënten. Deze vorm van geneeskunde heeft de afgelopen jaren veel ontwikkelingen gekend die het veld veranderden. Traditioneel hield nucleaire geneeskunde zich vooral bezig met diagnostiek, met slechts weinig therapeutische toepassingen (radiofarmaca).

Producten worden momenteel veelal lokaal, in verschillende umc's of in gespecialiseerde centra, ontwikkeld en toegepast. Hierin ziet FAST een verschuiving plaatsvinden. Ook commerciële partijen zijn begonnen met het ontwikkelen en registreren van producten gebaseerd op de medische isotopen-technologie. Dit is een teken van een volwassen veld in wording, waar heel veel wet- en regelgeving bij komt kijken, zowel nationaal als internationaal.

Deze ontwikkelingen leiden tot nieuwe uitdagingen, mogelijkheden en veranderingen in het innovatiesysteem. Een veld waarin FAST bijdraagt de potentie van nucleaire geneeskunde te benutten voor Nederland en Nederlandse patiënten. FAST draagt bij door stakeholders bijeen te brengen, het veld in kaart te brengen en verder te versterken.

Impact 2023

Wat hebben we gedaan?

In nauwe samenwerking met de kwartiermaker medisch isotopen¹³, die in 2023 is aangesteld door het ministerie van VWS, ondernemen we verschillende acties om het veld van nucleaire geneeskunde in kaart te brengen en acties voor verdere versterking te formuleren en te ondernemen.

In kaart brengen en analyseren van het Nederlandse veld

FAST liet door Technopolis het huidige veld in kaart brengen en analyseren. Deze SWOT-analyse¹⁴ van het nationale ecosysteem van nucleaire geneeskunde bracht de sterktes en zwaktes van het veld in beeld. De conclusie is dat er meer samenwerking en coördinatie nodig is om het volledige potentieel van dit ecosysteem te benutten. Coördinatie moet zorgen voor een gedeelde richting en prioritering van acties om het innovatie-ecosysteem voor nucleaire geneeskunde te verbeteren. Samenwerking binnen de nucleaire geneeskunde, met andere medische disciplines en tussen onderzoeksinstituten, ziekenhuizen, industrie en overheid, moet het ontwikkelingsproces van nucleaire geneeskunde verbeteren.

'FAST stimuleert innovatie, verbindt experts en opent deuren naar geavanceerde diagnostiek en therapieën'

DECISIVE

FAST is vanaf een vroeg stadium actief betrokken bij DECISIVE. Dit samenwerkingsverband is gestart met het doel een Nationaal Groeifonds (NGF) aanvraag in te dienen met de ambitie om de potentie van nucleaire geneeskunde verder te benutten voor Nederland en de Nederlandse patiënten. DECISIVE wil dit bereiken door de keten van nucleaire geneeskunde te versterken met het mobiliseren van ontbrekende infrastructuur en het bevorderen van samenwerking. Ondanks dat de toekomst van het NGF zeer onzeker is, gaat DECISIVE verder met het uitwerken van de plannen en het aantrekken van financieringsbronnen.

Doel 2024

Waar gaan we naartoe?

FAST onderzoekt, in lijn met de aanbevelingen, de analyse van het veld en de eerste bevindingen van de kwartiermaker, de mogelijkheid een hub op te richten waarin we expertises in dit veld samenbrengen. We zien kansen om, bij een relatief jong veld, het ecosysteem zo in te richten dat betaalbaarheid en innovatie hand in hand gaan. In dat kader heeft FAST in maart 2024 deelgenomen aan een innovatiemissie naar het Verenigd Koninkrijk. Medio 2024 wordt in nauwe samenwerking met de kwartiermaker en het veld een bijeenkomst georganiseerd waar de analyse van het ecosysteem wordt gepresenteerd.

¹³ <https://www.fast.nl/news/wim-oyen-patientenzorg-optimaliseren-en-innovatiekracht-optimaal-benutten>

¹⁴ <https://www.fast.nl/news/analyse-van-het-nederlandse-ecosysteem-van-nucleaire-geneeskunde>

4. Zeldzame ziekten

Zeldzame ziekten bestrijden met unieke therapieën



De term ‘zeldzame ziekten’ (weesziekten) verwijst naar ziekten die bij weinig mensen voorkomen. Het betreft kleine groepen patiënten die gerichte behandeling nodig hebben op basis van unieke kenmerken. Er zijn zoveel zeldzame ziekten dat deze samen een grote groep vormen. Nieuwe therapieën zijn vaak kostbaar. Tegelijk komen relatief eenvoudige innovaties moeilijk beschikbaar voor patiënten door een lastig verdienmodel en toegangssystematiek. Nederland speelt een belangrijke rol in wetenschappelijk onderzoek en ontwikkeling van producten bij zeldzame ziekten. Dit biedt kansen voor betaalbare therapieontwikkeling. Nu en in de toekomst.

Impact 2023

Wat hebben we gedaan?

De missie van FAST is het toegankelijk en betaalbaar beschikbaar maken van therapieën voor patiënten. Ook voor patiënten met een zeldzame ziekte. In 2023 is de FAST-hub RARE-NL gestart op het gebied van zeldzame ziekten en drug repurposing.

In RARE-NL werken we aan de hand van casuïstiek uit het veld aan oplossingen voor het veld. Deze casuïstiek wordt door FAST actief opgehaald uit de Nederlandse umc's en wordt in sommige gevallen ook online aangedragen via de FAST-wegwijzfunctie. Daar bereiken ons verhalen van bedrijven en onderzoeksgroepen die knelpunten in hun traject ervaren waar ze expertise voor zoeken. FAST vervult hierbij de rol van verbinder.

Gepersonaliseerde geneeskunde

Patiënten worden steeds beter behandeld op basis van hun eigen unieke kenmerken. De afgelopen jaren zijn hier steeds nieuwe weesgeneesmiddelen voor op de markt gekomen. Helaas zijn veel van deze middelen duur omdat er, vanwege het kleine aantal patiënten, een moeilijk verdienmodel is. Daarnaast ontstaat er vaak onvoldoende concurrentie waardoor de prijzen van weesgeneesmiddelen lang hoog blijven. Nederland heeft een goede uitgangspositie en kan op dit terrein een pioniersrol vervullen en dankzij onderzoek en samenwerking betaalbare therapieën ontwikkelen.

Nieuwe manieren van samenwerken

In 2023 inventariseerden wij andere vormen van samenwerking tussen publieke en private partijen bij de ontwikkeling van therapieën voor zeldzame ziekten¹⁵. We stimuleren om op een andere manier samen te werken met umc's en het bedrijfsleven, waarbij je gedurende de ontwikkeling tegen alle partijen zegt: 'Wees transparant over wat je investeert, wat je verdient en hoe je prijsvorming tot stand komt.' Samen werken we aan echte cases en leren we hoe we het traject verder kunnen brengen, tot aan de registratie en vergoeding voor de patiënt¹⁶.

'FAST streeft naar betaalbare therapieën door innovatie, samenwerking en het versterken van een wereldwijd netwerk'

Routekaart

Bij het ontwikkelen en beschikbaar maken van therapieën voor zeldzame ziektes spelen de umc's vaak een belangrijke rol. Om de mogelijkheden voor deze groep ontwikkelaars beter te begrijpen en in kaart te brengen publiceerden wij, in samenwerking met Medicijn voor de Maatschappij, voorloper van FAST-hub RARE-NL, een routekaart¹⁷. Hierin wordt stap voor stap duidelijk welke mogelijkheden/routes er zijn om een medicijn beschikbaar te maken voor de patiënt¹⁸.

15 <https://medicijnvoordemaatschappij.nl/verbeterkansen-in-publiek-private-partnerschappen-ppps>

16 <https://www.fast.nl/nieuws/van-casus-naar-systeem-aandacht-voor-zeldzame-aandoeningen>

17 <https://www.frontiersin.org/articles/10.3389/fphar.2023.1142351/full>

18 <https://medicijnvoordemaatschappij.nl/kennis/routekaart-medicijn>

Ook was FAST samen met Medicijn voor de Maatschappij betrokken bij het ontwerpen van de Orphan Drug Access Protocol (ODAP) en ontwikkeling van nieuwe prijs- en toegangsmodellen. Het doel van ODAP is om enkele nieuwe, veelbelovende, niet-oncologische weesgeneesmiddelen sneller beschikbaar te maken voor een maatschappelijk aanvaardbare prijs, gecombineerd met een beoordeling van effectiviteit (in de praktijk). Het gaat om een zeer kleine categorie weesgeneesmiddelen (enkelen per jaar) die de zorgverzekeraars toetsen aan het criterium 'stand van wetenschap en praktijk'.

Doel 2024

Waar gaan we naartoe?

In 2024 wil het platform Medicijn voor de Maatschappij opgaan in een breder nationaal verband waarvan het LUMC, Amsterdam UMC en het Radboudumc de trekkers zijn (RARE-NL). Ook is begin 2024 een Network Building Tour gestart in de verschillende umc's. Doel van de Network Building Tour is kennis bij (toekomstige) academische ontwikkelaars te versterken en casuïstiek, kansen en knelpunten op te halen.

Netwerkfunctie

FAST heeft een nationaal karakter, is van en voor het veld en is hierdoor in staat lokale initiatieven bij elkaar te brengen. Voor Nederland, Europa en uiteindelijk de rest van de wereld. Door netwerkfuncties met elkaar te mobiliseren ontstaat een netwerk dat vele malen groter is dan het relatief kleine FAST. Niet alle regulatoire kennis is noodzakelijkerwijs bij alle academische partners aanwezig en daarom werken we ook nauw samen met het CBG en Zorginstituut om casuïstiek uit de academie verder te kunnen helpen.

Met RARE-NL werken we naar een mogelijk investeringsfonds waarbij we innovatoren ondersteunen bij de ontwikkelingen van cases. Zo pionieren we met nieuwe manieren van samenwerking om betaalbaarheid en innovatie beter te laten samengaan.

5. Infectieziekten

Infectieziekten vragen constante aandacht



Infectieziekten worden veroorzaakt door micro-organismen. Ze komen veel voor en zijn besmettelijk. Het tijdig voorkomen en bestrijden ervan is van groot belang dus is onderzoek, gericht op het snel en efficiënt ontwikkelen van behandelingen en/of vaccins ter voorkoming van infecties, essentieel. Omdat infectieziekten een blijvend risico vormen voor de volksgezondheid, verdienen ze onze voortdurende aandacht en investering op de lange termijn.

Impact 2023

Wat hebben we gedaan?

Betaalbaarheid en innovatie gaan, op het gebied van infectieziekten, niet helemaal hand in hand. Commerciële prikkels ontbreken voor belangrijke onderwerpen. Denk aan het ontwikkelen van nieuwe antibiotica en soms ook van nieuwe vaccins. Om deze reden werken we aan nieuwe oplossingsrichtingen en totstandkoming van essentiële infrastructuur om nieuwe behandelingen snel en efficiënt te ontwikkelen¹⁹.

Stakeholderbijeenkomst

Om onderzoek en ontwikkeling naar nieuwe antimicrobiële middelen en samenwerking daarbij te stimuleren organiseerde FAST een stakeholderbijeenkomst²⁰ op 30 januari 2024. In samenwerking met het ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (VWS), de Nederlandse Organisatie voor Wetenschappelijk Onderzoek

¹⁹ <https://www.fast.nl/news/we-kunnen-nieuwe-producten-snel-en-efficiënter-ontwikkelen>

²⁰ <https://www.fast.nl/news/innovatieve-antimicrobiele-therapieontwikkeling-stakeholders-bijeen>

(NWO), ZonMw en de Rijksdienst voor Ondernemend Nederland (RVO). Deze bijeenkomst bracht publieke en private partijen bij elkaar die werken aan het ontwikkelen van antimicrobiële middelen waaronder internationale organisaties zoals GARDP en CARB-X.

Controlled Human Infection Models

Een van de oplossingsrichtingen voor infectieziekten zien we in Controlled Human Infection Models (CHIM). Dit betekent dat je, onder gecontroleerde omstandigheden, gezonde mensen infecteert met al dan niet verzwakte virussen, bacteriën of parasieten. Dergelijke modellen bieden de mogelijkheid om, in heel vroege stadia, metingen te verrichten bij potentiële behandelingen. Op deze manier is heel vroeg in het proces vast te stellen of een bepaalde behandeling een goed idee is of niet.

'Het efficiënt ontwikkelen van therapieën bij infectieziekten vereist unieke kennis en infrastructuur'

Bij CHIM spelen kennis- en infrastructurele componenten een rol. Te beginnen bij infrastructuur: bij dit soort onderzoeken is een faciliteit nodig die voldoet aan (in technische termen) Bio Safety Level 3. In zo'n faciliteit kan veilig worden gewerkt in een onderzoekscentrum dat CHIM toepast in vroege klinische geneesmiddelontwikkelingstrajecten. Een groep wetenschappers en private partners organiseerde zich rondom dit thema. Dit consortium ontving een impulssubsidie²¹ van ZonMw van 9,5 miljoen voor het opzetten van een Nederlandse faciliteit voor vroeg klinisch onderzoek naar geneesmiddelen en vaccins tegen infectieziekten.

Doel 2024

Waar gaan we naartoe?

FAST faciliteert in 2024 in het opzetten van deze nationale samenwerkingshub voor infectieziekten. We helpen met het samenstellen van de toekomstige onderzoeksagenda en met het bij elkaar brengen van veldpartijen. Bijvoorbeeld door te inventariseren welke behandelingen en/of modellen in ontwikkeling zijn bij de verschillende universiteiten.

De benodigde fysieke unit biedt een unieke kans om de FAST-hub voor infectieziekten op te bouwen waarin partijen, die werken aan therapieën voor infectieziekten, samenwerken en pionieren met alternatieve businessmodellen en nieuwe manieren van samenwerking tussen umc's en bedrijven.

²¹ <https://www.fast.nl/news/investering-van-95-miljoen-euro-in-nederlandse-faciliteit-voor-snellere-ontwikkeling-van-medicijnen-en-vaccins-tegen-infectieziekten>

Bijlagen

1. Verantwoording toezeggingen
in kamerbrief 7 maart 2023
2. Financiële verantwoording
over 2023

Bijlage 1

Verantwoording toezeggingen in kamerbrief 7 maart 2023

FAST (Centre for Future Affordable Sustainable Therapy development) is een coördinerend expertisecentrum voor therapieontwikkeling voor en door het veld. FAST wordt opgebouwd als een netwerkinfrastructuur bestaande uit een centrale organisatie en een netwerk van stakeholders waar mogelijk georganiseerd in zelfstandige samenwerkingsverbanden/FAST-hubs met een nationale positionering. Binnen dit netwerk worden verbindingen gelegd tussen publieke en private partijen, wordt kennis en expertise gebundeld en ontsloten via de wegwijsfunctie, en wordt ruimte gecreëerd om met casuïstiek te experimenteren hoe innovatie en betaalbaarheid beter samen kunnen gaan. FAST richt zich daarbij op de volgende speerpunten: i) drug repurposing, ii) cel- en gentherapie en iii) medische isotopen met bijzondere aandacht voor zeldzame ziekten en infectieziekten. Op deze manier worden kansen en knelpunten geïdentificeerd waar innovatoren in de praktijk mee te maken krijgen. Binnen het netwerk wordt gewerkt op basis van casuïstiek om te komen tot oplossingsrichtingen op systeemniveau.

Op 7 maart 2023 hebben de ministers van VWS en EZK de Tweede Kamer geïnformeerd²² over de voortgang van het expertisecentrum FAST. In deze bijlage is een overzicht opgenomen van de toezeggingen en de realisatie van de afspraken zoals opgenomen in de kamerbrief. Deze verantwoording betreft de activiteiten in het jaar 2023, deliverables van deze activiteiten die begin 2024 zijn opgeleverd zijn in deze rapportage ook opgenomen.

22 <https://www.rijksoverheid.nl/documenten/kamerstukken/2023/03/07/kamer-brief-over-voortgang-expertisecentrum-fast-en-afroniding-lsh-actieprogramma>

| Toezegging in kamerbrief | Realisatie |
|---|---|
| Werkwijze van FAST | |
| <p>FAST be vraagt op structurele wijze het veld over knelpunten in de ontwikkeling van therapieën en over mogelijke oplossingsrichtingen</p> | <p>Op speerpunten is het veld op structurele wijze be vraagd. Zowel in aparte opdrachten vanuit FAST als ook door inhoudelijke begeleiding door FAST van externe trajecten zoals inventarisaties gefinancierd door ZonMw. Dit heeft verschillende publicaties opgeleverd. De output hiervan wordt vervolgens verwerkt in onder andere de weg-wijsfunctie, handboeken, routekaarten en op maat advies. Aanbevelingen worden waar mogelijk verwerkt in programmering en aanvragen voor financiering zoals via Nationaal Groeifonds, RVO, NWO of ZonMw. FAST werkt samen met publieke en private partijen om te komen tot oplossingsrichtingen op systeemniveau voor kansen en knelpunten in therapieontwikkeling gebruikmakend van casuïstiek. Voorbeelden hiervan zijn:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Bij het ontwikkelen en beschikbaar maken van therapieën voor zeldzame ziektes speelt de academie een toenemend belangrijke rol. Om de mogelijkheden voor deze groep ontwikkelaars beter te begrijpen en in kaart te brengen, is in samenwerking met Medicijn voor de Maatschappij, een routekaart²³ gepubliceerd. • Een position paper²⁴ is opgesteld met concrete handelingsopties om drug repurposing aantrekkelijk te maken voor bedrijven en academische groepen. Daarnaast heeft FAST op verzoek van VWS een ronde tafel²⁵ georganiseerd om inzicht te krijgen in de lessons learned van drug repurposing ontwikkeling, aan de hand van colchicine bij coronair lijden. In samenwerking met het internationale samenwerkingsverband REMEDI4ALL²⁶ wordt gewerkt aan het optimaliseren van routes om de volledige potentie van drug repurposing te benutten. • Een SWOT-analyse²⁷ van het Nederlandse ecosysteem van nucleaire geneeskunde is opgeleverd en dient als input voor de matchmaking en vervolgstappen onder leiding van de kwartiermaker. • Een veldverkenning, knelpuntenanalyse en activiteitenkaart in het kader van cel- en gentherapie ontwikkeling voor pandemische paraatheid is afgerond in februari 2024 (zie rapportage²⁸), met ZonMw en Regulatory Science Network Netherlands (RSNN). Samen met een breed scala aan publieke en private veldpartijen wordt gewerkt aan een handboek voor ATMP-ontwikkeling, dat naar verwachting in het derde kwartaal van 2024 wordt opgeleverd. Deze rapportages dienen als input voor de uitwerking van de roadmap voor ATMP's binnen FAST. • Om de beschikbaarheid en betaalbaarheid van (nieuwe) innovatieve therapieën te waarborgen is het wenselijk academisch-gedreven therapieontwikkeling in Nederland verder te versterken. Daarbij wordt academisch-gedreven therapieontwikkeling gezien als een aanvulling op het bestaande systeem, gericht op onvervulde medische behoeften en/of gebieden waar de markt onvoldoende werkt vanuit maatschappelijk oogpunt. VWS heeft richting FAST de behoefte geuit om een overkoepelend overzicht (framework) op te stellen van waaruit academisch-gedreven geneesmiddelenontwikkeling verder kan worden gestimuleerd en/of ondersteund. Hiervoor heeft FAST een opdracht uitgezet naar SiRM, dit overzicht komt in de tweede helft van 2024 beschikbaar. |

23 <https://medicijnvoordemaatschappij.nl/kennis/routekaart-medicijn>

24 <https://www.fast.nl/news/drug-repurposing-als-snelle-route-naar-betalbare-nieuwe-behandelingen>

25 <https://www.fast.nl/news/update-rondetafelgesprek-colchicine-repurposing-casus-en-oplossingsrichtingen/>

26 <https://www.fast.nl/traject/repurposing-medicines-for-all-remedi4all>

27 <https://www.fast.nl/nieuws/analyse-van-het-nederlandse-ecosysteem-van-nucleaire-geneeskunde>

28 <https://www.rsnn.nl/sites/rsnn/files/2023-12/UU%20UMCU%20-%20Geneesmiddelen%20voor%20Geavanceerde%20Therapie%20%28ATMP%27s%29%20in%20Nederland%20-%20Dec2023.pdf>

| Toezegging in kamerbrief | Realisatie |
|--|--|
| Werkwijze van FAST | |
| <p>FAST brengt partijen bij elkaar en verbindt relevante wetenschappelijke, technologische en methodologische domeinen om creatieve en haalbare oplossingen te ontwikkelen.</p> | <p>Op de speerpunten zeldzame ziekten, infectieziekten, medische isotopen en cel- en genterapie zijn in 2023 verschillende initiatieven ondernomen om verbindingen te leggen tussen partijen en te inventariseren waar de behoefte aan ondersteuning ligt om therapieontwikkeling op die terreinen te versterken. In 2024 worden deze initiatieven gebundeld tot nieuwe FAST-hubs, wat zal resulteren in verdere uitbreiding van het FAST-netwerk. In 2023 is de eerste hub gevormd op het gebied van zeldzame ziekten en drug repurposing, samen met Medicijn voor de Maatschappij.</p> <p>In nauwe samenwerking met het ministerie van VWS en de kwartiermaker heeft FAST samengewerkt om belanghebbenden op het gebied van therapieontwikkeling met medische isotopen bij elkaar te brengen, knelpunten in kaart te brengen en gezamenlijk een roadmap te ontwikkelen. FAST neemt als partner deel aan een project om een specifieke unit op te zetten voor de vroege klinische ontwikkeling van anti-infectieuze middelen, met als doel klinische onderzoeken te vergemakkelijken die vanwege het unieke (infectieuze) karakter aparte infrastructuur vereisen. Deze unit biedt mogelijkheden voor het vroeg verlagen van het ontwikkelrisico van producten en kan dienen als een FAST-hub voor therapieontwikkeling voor infectieziekten door zowel academische groepen als bedrijven. FAST is via EATRIS²⁹, de Europese infrastructuur voor Translational Sciences, verbonden met een internationaal netwerk van experts op het gebied van therapieontwikkeling. FAST heeft namens Nederland zitting in de Board of Governors van EATRIS.</p> |
| Aansturing en vormgeving van FAST en de aanstelling van een bestuur | |
| <p>FAST organiseert een toekomstbestendige organisatievorm</p> | <p>De FAST board is geïnstalleerd met een publiek/privaat profiel met leden afkomstig uit wetenschap en bedrijfsleven. Daarnaast is een boardlid aangesteld met kennis van patiëntenparticipatie. De FAST board heeft regelmatig bestuurlijke afstemming met de Topsector LSH en relevante systempartijen.</p> <p>Voor de opstartfase van FAST is een convenant vastgesteld tussen VWS en ZonMw. Voor het optimaal functioneren van FAST is verdere verzelfstandiging cruciaal. Om toe te werken naar een duurzaam organisatie-model is ondersteuning ingehuurd waarbij wordt gekeken naar een model waarbij FAST als onafhankelijke entiteit kan opereren met een basisfinanciering vanuit de overheid (VWS en EZK). Het advies wordt medio 2024 opgeleverd. Duidelijkheid over langetermijn financiering is hiervoor essentieel om investering in een zelfstandige constructie te rechtvaardigen, partners te verbinden aan FAST en medewerkers te behouden.</p> <p>FAST wordt opgebouwd als netwerkinfrastructuur voor en door het veld in de vorm van een coördinerend expertisecentrum met een netwerk van eigenstandige samenwerkingshubs op speerpunten.</p> |

29 <https://eatris.eu>

| Toezegging in kamerbrief | Realisatie |
|--|---|
| Agenda | |
| <p>FAST zet in op verankering van patiëntenparticipatie bij therapie-ontwikkeling door actief het gesprek aan te gaan met vertegenwoordigers van patiënten en bij te dragen aan de kennis en vaardigheden van patiëntvertegenwoordigers en hun gesprekspartners</p> | <p>In alle trajecten wordt betekenisvolle patiëntenparticipatie ingebed. Het gaat in die werkwijze³⁰ om:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Het actief het gesprek opzoeken met vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties om hun vraag boven tafel te krijgen (ook als die FAST niet vanzelf bereikt) • Het actief organiseren van patiëntenvertegenwoordiging in de relaties die FAST aangaat / activiteiten die we initiëren <p>De FAST board heeft actief een rondgang gemaakt bij patiëntenvertegenwoordigers.</p> <p>Om een brede groep patiëntenvertegenwoordigers bekend te maken met het traject van het ontwikkelen van geneesmiddelen, van de vroege onderzoeksfase tot en met opname in het verzekerde is samen met PGO support een leerlijn³¹ (e-modules) ontwikkeld die gratis wordt aangeboden aan medewerkers en vrijwilligers van patiëntenorganisaties, en andere geïnteresseerden, via de reeds aanwezige infrastructuur voor scholing voor deze doelgroep.</p> |
| <p>FAST zorgt voor een centrale plek waar innovatoren vanuit academie, start-ups en bedrijven laagdrempelig op weg kunnen worden geholpen en ondersteuning kunnen krijgen. De loketfunctie wordt verder geprofessionaliseerd.</p> | <p>FAST heeft een wegwijsfunctie ontwikkeld waarbij partijen laagdrempelig advies kunnen aanvragen en waar relevante informatie van diverse partijen wordt ontsloten.</p> <ul style="list-style-type: none"> • Vooral academische ontwikkelaars die zich bezighouden met drug repurposing of Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP's) voor kleine patiëntenpopulatie dienen concrete verzoeken om ondersteuning in. Deze worden samen met experts binnen het hub-netwerk behandeld. • In totaal zijn 36 vraagstukken voorgelegd aan FAST. Dit betroffen individuele ontwikkelingsvraagstukken en casussen, systeemvraagstukken (financiering, betaalbaarheid, ontwikkeling en implementatie van innovatieve routes/methoden) en vragen over samenwerking. • RSNN heeft in opdracht van FAST een haalbaarheidsstudie gedaan voor een multistakeholder model voor regulatory support. Daarnaast is door FAST een customer journey workshop georganiseerd met stakeholders vanuit verschillende publieke en private partijen. Tijdens de workshop is opgehaald welke vragen onderzoekers vanuit de academie en klein - middelgrote bedrijven (innovatoren) aan een wegwijsloket zouden willen stellen en hoe de beantwoording kan worden vormgegeven. De kennis hiervan wordt gebruikt voor de verdere doorontwikkeling van de wegwijsfunctie. • Begin 2024 is een traject gestart om de wegwijsfunctie verder te optimaliseren met digitale producten waarbij een forum wordt ontwikkeld voor en door het veld waar vraag en antwoord bij elkaar kan komen. |

30 <https://www.pgosupport.nl/nieuws/expertisecentrum-geneesmiddelenontwikkeling-stelt-patient-centraal>

31 <https://www.pgosupport.nl/cursussen/van-molecuul-naar-medicijn-online-leerlijn>

| Toezegging in kamerbrief | Realisatie |
|---|--|
| Agenda | |
| <p>FAST ontwikkelt samen met andere partijen een EU benchmark over klinische studies om inzicht te geven waar het Nederlandse vestigingsklimaat verder kan worden verbeterd en hoe we Nederland beter internationaal kunnen positioneren</p> | <p>FAST faciliteert inzicht en samenwerking waar het Nederlandse vestigingsklimaat kan worden verbeterd en hoe we Nederland beter internationaal kunnen positioneren. Het verbeteren van de condities voor de uitvoering van klinische geneesmiddelenstudies is als een belangrijke kans aangemerkt door zowel publieke als private partijen.</p> <p>Samen met CCMO, Topsector LSH (Health-Holland), Invest in Holland, VIG, DCRF en ACRON³² heeft FAST de positie van Nederland in kaart gebracht op het gebied van klinische studies met geneesmiddelen in zowel Nederlandse als Europese context. Tijdens de handelsmissie met de ministers van VWS en EZK naar Boston in juni 2023 zijn de resultaten van de benchmark studie gepresenteerd bij verschillende partijen die interesse hebben om in Nederland onderzoek te doen.</p> <p>De benchmark³³ is op 4 december 2023 gepresenteerd en gepubliceerd tijdens het DCRF jaarcongres en geeft concrete aanbevelingen voor een onderbouwde internationale positionering van Nederland op het gebied van geneesmiddelenstudies.</p> <p>Deze aanbevelingen en de bevindingen van de CTR (Clinical Trial Regulation) survey zijn in oktober 2023 in een RSNN expertmeeting³⁴ geduid en hebben geleid tot een nationaal actieplan klinisch onderzoek 2024 dat onder leiding van de Dutch Clinical Research Foundation (DCRF) samen met partijen wordt uitgevoerd.</p> |
| <p>Om bedrijven en academici te ondersteunen in ATMP ontwikkeling wordt samen met betrokken partijen een eerder ontwikkelde routekaart ge-update en uitgebreid.</p> | <p>Samen met een breed scala aan publieke en private veldpartijen wordt gewerkt aan een handboek voor ATMP-ontwikkeling, dat naar verwachting in het derde kwartaal van 2024 wordt opgeleverd.</p> <p>De trekkers van de Nationale Wetenschapsagenda (NWA) route Regeneratieve Geneeskunde hebben samen met FAST een dialoog workshop³⁵ met publieke en private partijen georganiseerd over oplossingsrichtingen voor financiering en vergoeding van ATMP's.</p> <p>Een veldverkenning, knelpuntenanalyse en activiteitenkaart³⁶ in het kader van ATMP's voor pandemische paraatheid is afgerond in februari 2024.</p> <p>In 2024 inventariseert FAST of een hub voor innovatieve therapieën zoals cel-en genterapieën nodig is naar het voorbeeld van ATMP Sweden³⁷, en blijft het innovatoren doorlopend ondersteunen via de wegwijsfunctie.</p> |

32 Associatie van Contract Research Organisaties Nederland (ACRON), Centrale Commissie Mensgebonden Onderzoek (CCMO), Dutch Clinical Research Foundation (DCRF), Invest In Holland, Topsector Life Sciences & Health (Health-Holland), en de Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen (VIG)

33 <https://www.fast.nl/news/nederland-blinkt-nu-nog-internationaal-uit-in-klinisch-onderzoek>

34 <https://www.rsnn.nl/newsroom/rsnn-expert-meeting-report-dutch-clinical-trial-landscape>

35 <https://www.fast.nl/news/innovatieve-geneesmiddelen-oplossingen-voor-financiering-en-vergoeding>

36 <https://www.rsnn.nl/sites/rsnn/files/2023-12/UU%20UMCU%20-%20Geneesmiddelen%20voor%20Geavanceerde%20Therapie%20ATMP%27s%29%20in%20Nederland%20-%20Dec2023.pdf>

37 <https://atmpsweden.se>

| Toezegging in kamerbrief | Realisatie |
|--|---|
| Agenda | |
| <p>Een routekaart voor kennisinstellingen wordt samengesteld en gepubliceerd, met een beschrijving van welke stappen nodig zijn voor de ontwikkeling van een geneesmiddel voor zeldzame ziektes</p> | <p>Bij het ontwikkelen en beschikbaar maken van therapieën voor zeldzame ziektes spelen de umc's vaak een belangrijke rol. Om de mogelijkheden voor deze groep ontwikkelaars beter te begrijpen en in kaart te brengen publiceert FAST, in samenwerking met Medicijn voor de Maatschappij, voorloper van FAST-hub RARE-NL, een routekaart³⁸. Hierin wordt stap voor stap duidelijk welke mogelijkheden/routes er zijn om een medicijn beschikbaar te maken voor de patiënt.</p> |
| <p>FAST ondersteunt de kwartiermaker bij het opstellen van een roadmap met onderzoekers en ondernemers in de nucleaire geneeskunde sector.</p> | <ul style="list-style-type: none"> • In september 2023 is de kwartiermaker medische isotopen van start gegaan in opdracht van de programmadirectie Medische Isotopen (PMI) van VWS. De kwartiermaker heeft als opdracht het bevorderen van de samenhang en samenwerking in de ontwikkeling en toepassing van nucleaire geneesmiddelen (radiofarmaca) met als doel om de radiofarmaca sneller beschikbaar te krijgen voor de dagelijkse patiëntenzorg voor een aanvaardbare prijs om zo de potentie en infrastructuur van de nucleaire geneeskunde in Nederland optimaal te benutten ten behoeve van de patiënt. FAST heeft op verschillende manieren vormgegeven aan het ondersteunen van de kwartiermaker, in goed overleg met de kwartiermaker en de directie PMI: • FAST heeft op reguliere basis contact met de kwartiermaker³⁹ en de programmadirectie PMI en faciliteert het verzamelen en analyseren van input. • Een SWOT-analyse⁴⁰ van het Nederlandse ecosysteem van nucleaire geneeskunde is opgeleverd en dient als input voor de matchmaking en vervolgstappen onder leiding van de kwartiermaker. • FAST heeft een faciliterende rol bij NGF aanvragen in voorbereiding op dit gebied. FAST heeft bijvoorbeeld meeting georganiseerd om samenhang en samenwerking te creëren tussen verschillende NGF aanvragen en op verzoek en in nauwe samenwerking met directie PMI een informatie meeting georganiseerd voor ministeries en uitvoerende organisaties over de NGF aanvragen op dit terrein. • FAST heeft meegeholpen bij de organisatie van een innovatiemissie naar Londen in maart 2024. |

38 <https://medicijnvoordemaatschappij.nl/kennis/routekaart-medicijn>

39 <https://www.fast.nl/news/wim-oyen-patientenzorg-optimaliseren-en-innovatiekracht-optimaal-benutten>

40 <https://www.fast.nl/nieuws/analyse-van-het-nederlandse-ecosysteem-van-nucleaire-geneeskunde>

| Toezegging in kamerbrief | Realisatie |
|---|---|
| Agenda | |
| <p>FAST faciliteert de toepassing van de principes MVL in de praktijk</p> | <p>FAST heeft opdracht gegeven om een leidraad op te stellen voor het toepassen van Maatschappelijk Verantwoord Licentiëren (MVL) principes door mogelijkheden en onmogelijkheden van licenties in het LSH domein te schetsen. De leidraad is ontwikkeld samen met Nederlandse Federatie van Universitair Medische Centra (NFU), Universiteiten Nederland (UNL), HollandBio, ZonMw en ReumaNederland.</p> <p>De MVL leidraad⁴¹ is opgeleverd en wordt meegenomen in de doorontwikkeling van de MVL principes door NFU en UNL. Eind 2023 is een meeting georganiseerd met de ministeries van VWS, EZK en OCW en NFU om de context en mogelijkheden van MVL toe te lichten, zie hiervoor ook het interview⁴² met de ontwikkelaars van de leidraad.</p> <p>Op het gebied van zeldzame ziekten en drug repurposing wordt geëxperimenteerd met nieuwe manieren van samenwerking waarin de MVL principes worden ingebed. Hierover is samen met Medicijn voor de Maatschappij een artikel⁴³ gepubliceerd.</p> |
| <p>FAST besteedt aandacht aan alternatieven voor inefficiënte diermodellen</p> | <ul style="list-style-type: none"> FAST werkt samen met ZonMw, Proefdiervrij, RIVM op het gebied van NAMs (New Approach Methodologies; methodes niet gebaseerd op in vivo onderzoek om veiligheid, effectiviteit en/of kwaliteit van therapieën te onderzoeken). FAST heeft deelgenomen aan de organisatie van een RSNN expertmeeting⁴⁴ over de problematiek omtrent de implementatie van NAMs in therapieontwikkeling. Dit heeft uiteindelijk geleid tot een NAMs landschapsanalyse⁴⁵, een actueel overzicht van welke stappen kunnen worden genomen om NAMs te implementeren in regelgevingskaders. Inzicht krijgen in deze stappen is essentieel om de implementatie van NAMs te faciliteren. FAST heeft de aanvraag van Centrum voor Proefdiervrije Biomedische Translatie (CPBT) ondersteund en zal daarmee verbinding leggen zodra dat Nationaal Groeifonds (NGF) project aan de slag gaat Kennis van de (pre)klinische modellen en biologische eindpunten die zijn toegepast in de ontwikkeling van een geneesmiddel, in combinatie met hun uiteindelijke toelating, kan bijdragen aan het inzichtelijk maken van de succesfactoren van therapieontwikkeling op een specifiek gebied. In een haalbaarheidsstudie⁴⁶ in opdracht van FAST wordt onderzocht of tekst-mining succesvol kan worden ingezet om kennis uit EMA (European Medicines Agency) documenten te extraheren. De resultaten van de haalbaarheidsstudie worden medio 2024 verwacht. |

41 <https://www.fast.nl/trajecten/leidraad-maatschappelijk-verantwoord-licentiëren-mvl>

42 <https://www.fast.nl/nieuws/betere-voorbereidingen-vergroten-slaagkans-bij-licentiëren>

43 <https://medicijnvoordemaatschappij.nl/verbeterkansen-in-publiek-private-partnerschappen-ppps/>

44 https://www.rsnn.nl/sites/rsnn/files/2023-11/Report_RSNN_Expert_Meeting_NAMs_20230523_FINAL.pdf

45 <https://www.rivm.nl/en/documenten/landscape-new-approach-methodologies-nams-safety-assessment-pharmaceutical-products>

46 <https://www.fast.nl/trajects/haalbaarheidsstudie-tool-ema-data-analyse>

| Toezegging in kamerbrief | Realisatie |
|---|--|
| Agenda | |
| <p>FAST werkt als expertisecentrum op geleide van behoeftes in het veld aan de ondersteuning van ontwikkelingen op het terrein van infectieziekten, onder andere in het kader van pandemische paraatheid, met speciale aandacht voor behandeling van post-COVID en de ontwikkeling van nieuwe (vormen van) antibiotica</p> | <ul style="list-style-type: none"> • De recente COVID-19-pandemie herinnerde ons eraan hoe kwetsbaar we zijn voor infectieziekten. Ook toonde de pandemie het belang aan van samenwerking tussen deskundigen uit verschillende sectoren, van een regelgevingsstructuur, en van toegang tot faciliteiten om vaccins en behandelingen te produceren en te testen. Omdat de Nederlandse regering zich bewust is van de mogelijke opkomst van nieuwe pandemische dreigingen heeft zij geld uitgetrokken om een nationale infrastructuur op te zetten om hierop voorbereid te zijn. Dit initiatief werd mogelijk gemaakt door een ZonMw-oproep tot het indienen van voorstellen gericht op het nemen van effectieve maatregelen om de gevolgen van toekomstige pandemieën aan te pakken en te beperken. • Op 14 januari 2024 is een ZonMw subsidie toegekend aan een consortium voor het opbouwen van een vroege fase klinische trial unit⁴⁷. Het doel van dit traject is het realiseren van een specifieke unit voor "early clinical development of anti-infectious agents" om klinische onderzoeken te faciliteren die vanwege het unieke infectieuze karakter aparte infrastructuur behoeven en die ook tijdens pandemieën volledig operationeel blijft. Deze unit biedt onder andere voor zowel academie als bedrijven kansen voor vroege derisking van producten bijvoorbeeld door het uitvoeren van controlled human infection modellen. FAST opereert als partner in dit traject De klinische onderzoeksfaciliteit die wordt opgebouwd biedt een unieke kans om de FAST-hub voor infectieziekten op te bouwen waarin publieke en private partijen die werken aan therapieën voor infectieziekten samenwerken en waar wordt gepioneerd met alternatieve business modellen en nieuwe manieren van samenwerking tussen academie en bedrijven. In 2024 wordt hier door FAST zowel inhoudelijk als bestuurlijk aan bijgedragen. • In het kader van het stimuleren van onderzoek en ontwikkeling naar nieuwe antimicrobiële middelen heeft FAST in samenwerking met VWS, NWO, ZonMw en RVO een stakeholderbijeenkomst⁴⁸ georganiseerd op 30 januari 2024. Doel hiervan was om betrokken partijen te informeren, samenwerking te bespoedigen, resultaten uit te wisselen en het ecosysteem te versterken. Deze bijeenkomst heeft publieke en private partijen bij elkaar gebracht die werken aan het ontwikkelen van antimicrobiële middelen waaronder internationale organisaties zoals GARDP⁴⁹ en CARB-X⁵⁰. • Wanneer van toepassing adviseert FAST over therapeutische ontwikkelingen rondom post-covid, bijvoorbeeld in het kader van onderzoeksprogrammering door ZonMw. |

47 <https://www.fast.nl/news/we-kunnen-nieuwe-producten-sneller-en-efficiënter-ontwikkelen>

48 <https://www.fast.nl/news/innovatieve-antimicrobiële-therapieontwikkeling-stakeholders-bijeen>

49 <https://gardp.org>

50 <https://carb-x.org>

Bijlage 2

Financiële verantwoording over 2023

Achtergrond

FAST valt onder de financiële eindverantwoordelijkheid van ZonMw. De gelden voor FAST zijn binnen de begroting geormerkt voor FAST en worden via de financiële systemen van ZonMw verwerkt en gecontroleerd. De financiële verantwoording vindt plaats via de jaarrekening van ZonMw.

Onderstaand is de realisatie van de kosten voor 2023 in een breakdown weergegeven van het totaal aan kosten zoals opgenomen is in de ZonMw jaarrekening versus de door FAST ingediende begroting in het bestedingsplan 2023-2024.

Toelichting

De begroting is conform het bestedingsplan 2023-2024 dat is ingediend bij het ministerie van VWS.

In de financiële administratie voor 2023 zijn de kosten voor de activiteiten op het gebied van '3. open dialoog en connectiviteit' ondergebracht bij de posten '2. Inventariseren, analyseren, experimenteren' en '6. Communicatie' vanwege het in samenhang uitzetten van deze activiteiten. Voor patiëntenparticipatie zijn volgens de afrekening in 2023 geen kosten gemaakt, de reden hiervoor is dat voor het traject dat is opgestart de kosten in 2024 vallen.

Uit het overzicht komt naar voren dat het budget voor 2023 nog niet volledig is benut. Volgens de financiële eindafrekening was er op 31 december 2023 een onderbenutting van € 556.790,-. Hierbij moet worden opgemerkt dat een deel van de betaling van facturen voor opdrachten die in 2023 zijn uitgezet in de afrekening van 2024 valt, dit betreft een budget van € 399.060,-. Een resterend budget van € 157.730,- was eind 2023 nog niet benut. Redenen voor de onderbenutting zijn het later kunnen starten van personeel, lager uitvallende kosten voor de FAST board en langere aanlooptijden op investeringen in inventarisatie trajecten en de wegwijsfunctie. De resterende middelen worden conform het bestedingsplan 2023-2024 uitgezet.

| | Begroting 2023 | Realisatie 2023 |
|---|-----------------------|------------------------|
| Advies en wegwijsfunctie | € 200.000 | € 103.112 |
| Inventariseren, analyseren, experimenteren | € 480.000 | € 225.400 |
| Open dialoog en connectiviteit | € 40.000 | - |
| Patientenparticipatie | € 115.000 | - |
| Internationaal (incl EATRIS host- en country contribution) | € 205.000 | € 200.672 |
| Communicatie | € 120.000 | € 150.518 |
| Algemene kosten (incl organisatie ontwikkeling) | € 50.000 | € 79.897 |
| FAST board (vacatie en reisgelden) | € 120.000 | € 62.562 |
| Personeelskosten (incl training en hosting) | € 670.000 | € 621.049 |
| Totaal | € 2.000.000 | € 1.443.210 |



FAST

Contact

Laan van Nieuw Oost-Indië 334

2593 CE Den Haag

www.fast.nl