



TER BESLISSING

**Directoraat-Generaal
Curatieve Zorg**

Directie Geneesmiddelen en
Medische Technologie

Aan

Minister van VWS

Deadline: 2-6-2026

26/5/26

Ongesteld door

nota

Kamerbrief beoordeling vergoeding weesgeneesmiddelen

Datum

20 mei 2026

Kenmerk

4388572-1099130-GMT

1. Aanleiding

De afgelopen maanden hebben diverse partijen gevraagd om een aparte route voor de beoordeling voor vergoeding van weesgeneesmiddelen¹. In deze brief wordt gereageerd op de vragen van deze partijen.

2. Geadviseerd besluit

U wordt geadviseerd deze brief te ondertekenen en met de Kamer te delen. Het streven is deze brief tijdig voor het geplande debat Zorgverzekeringsstelsel op 10 juni naar de Kamer te sturen.

3. Kernpunten

- Partijen geven aan dat effectiviteit van weesgeneesmiddelen vaak moeilijk overtuigend aan te tonen is door kleine patiëntgroepen en beperkte data. De partijen stellen dat het huidige vergoedingssysteem in de praktijk onvoldoende aansluit bij de kenmerken van (zeer) zeldzame aandoeningen en wijzen op pilots zoals het ODAP (*Orphan Drug Access Protocol*) waarbij gegevens over de effectiviteit worden verzameld na opname in het basispakket.
- In de brief wordt onderscheid gemaakt tussen weesindicaties met grotere aantallen patiënten (soms honderden patiënten in Nederland) en ultra-wees indicaties (soms slechts enkele patiënten).
- In de brief wordt uitgelegd dat het reguliere beoordelingskader geschikt is om, ook bij weesgeneesmiddelen, te komen tot een positief oordeel over de effectiviteit. Het Zorginstituut kan bij de beoordeling namelijk rekening houden met zogenaamde contextuele factoren (zoals de ernst van de aandoening, passend bewijs, het ontbreken van andere behandelopties) en adviseren over omstandigheden die spelen bij weesgeneesmiddelen, zoals de ontwikkelingskosten. Ook kunnen beheersmaatregelen worden voorgesteld voor een gepaste inzet (gepaste inzet van het middel, financiële afspraken of eventueel een *pay-for-performance* component).

¹ Reactie Comité Weesgeneesmiddelen op het consultatiedocument van Zorginstituut Nederland over het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen (TSG) ([\(\(24\) Post | LinkedIn\)](#)); Reactie VIG op het TSG ([VIG: impactanalyse wenselijk voor zorgvuldig vervolg van het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen - Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen](#)); Gezamenlijke oproep vergoeding voor weesgeneesmiddelen van Hollandbio, BVKM, VSOP, VKS, VIG en Comité Weesgeneesmiddelen ([Gezamenlijke oproep Hollandbio, BVKM, VSOP, VKS, VIG en Comité voor passende route voor vergoeding voor weesgeneesmiddelen](#)); Bijdrage van Stichting Comité Weesgeneesmiddelen aan het nieuwe maatschappelijk wegingskader ([20260107-Observaties-Comite-Weesgeneesmiddelen-FINAL.pdf](#)); motie van het lid Claassen Vergaderjaar 2025–2026, 36 800 XVI, nr. 155.



- In de brief wordt ook uitgelegd waarom het kabinet geen voorstander is van een pilot zoals de ODAP.
- Ook wordt de relatie met de Voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals* (VT) beschreven. De appreciatie van de eerste beleidsmatige evaluatie van de Voorwaardelijke Toelating (VT) wordt gelijktijdig, voor de zomer, naar de Kamer gestuurd. Via de VT kunnen weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals*, die vanwege onvoldoende bewijs nog niet voldoen aan het pakketcriterium 'de stand van de wetenschap en praktijk' (effectiviteit) (wanneer voldaan aan de voorwaarden) tijdelijk worden vergoed vanuit het basispakket.
- Verder wordt een update gegeven over de situatie rondom het weesgeneesmiddel Voxzogo.
- Het kabinet onderschrijft wel de noodzaak van een specifiek traject voor ultra-weesgeneesmiddelen, zeker nu er sprake lijkt te zijn van een toename van zeer gepersonaliseerde therapieën voor hele kleine aantallen patiënten². Hierover wordt overleg gevoerd met het Zorginstituut.

4. Toelichting

a. *Draagvlak politiek*

Vanuit de Kamer wordt gevraagd om een aparte route voor weesgeneesmiddelen³. Bovendien is op verzoek van het lid Maeijer (PVV) een plenair debat aangevraagd over de toegang tot geneesmiddelen in Nederland. Aanleiding hiervoor is de Voxzogo casus en meer in het algemeen de toegang tot weesgeneesmiddelen.

b. *Draagvlak maatschappelijk en eenduidige communicatie*

Ook vanuit de maatschappij wordt gevraagd om een aparte route voor weesgeneesmiddelen⁴.

c. *Arbeidsmarkteffecten zorg- en welzijnsveld*

N.v.t.

d. *Gevolgen administratieve lasten*

N.v.t.

e. *Financiële en personele gevolgen VWS en uitvoeringsorganisaties*

Het Zorginstituut zal de komende tijd, binnen het lopende TSG-traject, uitwerken wanneer en hoe weesgeneesmiddelen en ultraweesgeneesmiddelen door het instroomproces van TSG heen lopen. Daarnaast zal het Zorginstituut, mogelijk binnen het lopende MAUG-traject, kijken of pakketrisico's bij ultra-weesgeneesmiddelen op andere wijze kunnen en moeten worden beheerst, dan via de kosteneffectiviteit.

² Zie bijvoorbeeld: [Op maat gemaakte therapie repareert kapot gen van zieke baby in VS - NRC](#) en 'From roadmap to a sustainable end-to-end individualized therapy pathway', Ther Adv Rare Dis 2025, Vol. 6: 1-17.

³ Bijvoorbeeld de motie van het lid Claassen Vergaderjaar 2025-2026, 36 800 XVI, nr. 155.

⁴ Reactie Comité Weesgeneesmiddelen op het consultatiedocument van Zorginstituut Nederland over het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen (TSG) ([\(24\) Post | LinkedIn](#)); Reactie VIG op het TSG ([VIG: impactanalyse wenselijk voor zorgvuldig vervolg van het Toekomstbestendig Stelsel Geneesmiddelen - Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen](#)); Gezamenlijke oproep vergoeding voor weesgeneesmiddelen van Hollandbio, BVKM, VSOP, VKS, VIG en Comité Weesgeneesmiddelen ([Gezamenlijke oproep Hollandbio, BVKM, VSOP, VKS, VIG en Comité voor passende route voor vergoeding voor weesgeneesmiddelen](#)); Bijdrage van Stichting Comité Weesgeneesmiddelen aan het nieuwe maatschappelijk wegingskader ([20260107-Observaties-Comite-Weesgeneesmiddelen-FINAL.pdf](#)).



f. Juridische aspecten haalbaarheid

De vraag of de beoordeling van ultra-weesgeneesmiddelen past binnen de Zorgverzekeringswet (Zvw) is besproken met WJZ.

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

g. Afstemming (intern, interdepartementaal en met veldpartijen)

Met het Zorginstituut en op onderwerpen met directie Z, en zorgverzekeraars.

Kenmerk
4388572-1099130-GMT

h. Toezeggingen

N.v.t.

i. Fraudetoets

N.v.t.

5. Informatie die niet openbaar gemaakt kan worden

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