

Bijlage bij de appreciatie van de VT evaluatie

Voorstel voor aanpassingen van het VT beleid

Wenselijkheid van de VT en de huidige afbakening van de VT procedure

Gedurende de vijfjarige evaluatieperiode startten slechts drie¹ VT-trajecten (vier geneesmiddelen): kennelijk was er weinig animo bij firma's. Het hoofddoel van het evaluatietraject is niet per se om de VT aantrekkelijker te maken voor firma's, maar de hoop is wel dat enkele onnodige knelpunten kunnen worden aangepakt. Want we hebben niets aan de VT als er niet of nauwelijks gebruik van wordt gemaakt.

Meerdere deelnemers aan de evaluatie gaven aan het wenselijk te vinden dat de VT wordt uitgebreid met geneesmiddelen waarbij sprake is van onzekerheid over de effectiviteit maar die niet voldoen aan de huidige afbakeningscriteria van de VT.

Voordat hierop wordt ingegaan, richt deze bijlage zich eerst op de huidige afbakening van de procedure, en of die nog passend is. In het licht van de bredere ambities van passende zorg vindt het kabinet het in principe niet meer maatschappelijk verantwoord om te betalen voor, vaak dure, geneesmiddelen waarvan de effectiviteit nog niet is aangetoond. Dit past bij de doelstelling uit het coalitieakkoord om zorg die niet bewezen effectief is niet (meer) te vergoeden vanuit het basispakket. Er is bekeken voor welke situaties het gerechtvaardigd is om daarop (via een VT) toch een uitzondering te maken.

Het huidige beleid van voorwaardelijke toelating richt zich op weesgeneesmiddelen², *conditionals*³ en *exceptionals*⁴ omdat het voor deze geneesmiddelen lastig kan zijn, of langer kan duren, om de effectiviteit te bewijzen. Bijvoorbeeld omdat deze geneesmiddelen ontwikkeld zijn voor ziekten met zeer kleine patiëntaantallen, een heterogene⁵ patiëntpopulatie en/of een aandoening met een langzaam progressief dan wel heterogeen ziektebeloop. Bij de introductie van het VT beleid werd aangegeven⁶ dat het via de VT mogelijk is om op basis van 'andere onderzoeksmethoden gegevens over de effectiviteit aan te leveren' bij het Zorginstituut, gedurende een langere periode. Daarbij werd verduidelijkt dat het bijvoorbeeld kan gaan om 'ongeblijndeerd onderzoek waarbij de resultaten worden vergeleken met een historische controlegroep, of het in kaart brengen van het natuurlijk beloop van de ziekte met een bestaand register waar de resultaten van de behandelde patiënten vervolgens mee worden vergeleken'. De wens om nieuwe, veelbelovende middelen snel beschikbaar te maken voor patiënten is begrijpelijk. Het is ook begrijpelijk dat het EMA daarom de mogelijkheid biedt tot een voorwaardelijke of bijzondere handelsvergunning. Maar we zien dat snelheid zich in de praktijk toch vooral terugvertaalt in onzekerheid over de effecten. Sterker nog, onderzoek heeft uitgewezen dat juist van oncologische geneesmiddelen die versneld zijn toegelaten uiteindelijk de (toegevoegde) waarde niet of nauwelijks viel vast te stellen.⁷ Het is dan de vraag of een versnelde of voorwaardelijke toelating het probleem van onzekerheid niet slechts verplaatst, in plaats van oplost, maar dan wel ten laste van de samenleving omdat die het financiële risico daarvan (meer) gaat dragen.

¹ Gedurende de evaluatie is daarnaast een VT traject voor Revestive gestart.

² Een weesgeneesmiddel is een geneesmiddel voor een zeldzame ziekte. In Europa wordt een ziekte als zeldzaam beschouwd als deze minder dan 1 op de 2000 mensen treft.

³ Een conditional is een geneesmiddel dat een voorwaardelijke handelsvergunning heeft ontvangen van het EMA. De firma moet ondertussen meer onderzoek doen en zo meer data genereren, zodat de tijdelijke handelsvergunning kan worden omgezet in een definitieve handelsvergunning.

⁴ Een exceptional is een geneesmiddel met een handelsvergunning onder uitzonderlijke voorwaarden. Voor een dergelijk geneesmiddel is het niet mogelijk om nog meer onderzoek te doen en meer data te genereren. Het EMA accepteert dat voor deze geneesmiddelen er altijd enige sprake van onzekerheid zal blijven bestaan.

⁵ Een heterogene populatie is een groep waarin individuen verschillen op belangrijke kenmerken

⁶ Vergaderjaar 2019-2020, Kamerstuk 29477 nr. 621

⁷ <https://www.uu.nl/nieuws/veel-nieuwe-kankermedicijnen-in-de-eu-hebben-geen-bewezen-toegevoegde-waarde>

Daarom is per VT categorie⁸ bekeken of het nog steeds terecht is dat de overheid deze geneesmiddelen via een VT bekostigt. De conclusie bij elk van de drie categorieën is dat het primair de verantwoordelijkheid van een firma is om dit onderzoek uit te voeren voor het verkrijgen van de handelsvergunning én pakkettoelating. Vooral wanneer het onderzoek de firma ook ten goede komt bij de introductie van het geneesmiddel in andere landen. Zelfs als het gaat om geneesmiddelen waarvoor het moeilijker kan zijn voldoende goede onderzoeksgegevens te verkrijgen. Geïnterviewde firma's geven namelijk aan dat als bestaande data uit internationale registratiestudies (voor weesgeneesmiddelen) onvoldoende blijken voor een beoordeling van de effectiviteit, het onwaarschijnlijk is dat op basis van Nederlands onderzoek wel voldoende data verzameld kunnen worden.

Bovendien is het zo dat weesgeneesmiddelen doorgaans via de reguliere vergoedingsroute kunnen worden beoordeeld en, indien wordt voldaan aan de pakketcriteria, opgenomen in het basispakket. Bij weesgeneesmiddelen kan het nog steeds gaan om honderden patiënten en is bewijs in principe goed te verzamelen. Tot op heden zijn de meeste weesgeneesmiddelen opgenomen in het basispakket. Op deze punten wordt nader ingegaan in een brief over weesgeneesmiddelen die ook voor de zomer met uw Kamer wordt gedeeld.

Het kabinet vindt het wel belangrijk dat firma's tijdig worden geïnformeerd over het onderzoek dat nodig is voor pakketopname⁹. Dat kan via een gezamenlijk Europees wetenschappelijk advies (de Joint Scientific Consultation), zoals is geregeld in de Europese Health Technology Assessment verordening (EUHTAr). Het kabinet hoopt dat hier veel gebruik van zal worden gemaakt en verwacht dat zich daarmee op termijn minder situaties voordoen waar het voor vergoeding benodigde onderzoek niet is uitgevoerd.

Zoals aangegeven vindt het kabinet het primair de verantwoordelijkheid van een firma om het benodigde onderzoek uit te voeren. Het kabinet vindt het wel redelijk om de VT open te stellen voor geneesmiddelen waarbij firma's (economisch gezien) onvoldoende prikkels hebben om het onderzoek zelf uit te voeren. Daar wordt in de volgende paragraaf verder op ingegaan.

Voorstel voor aangepaste afbakening

Uit de evaluatie blijkt dat firma's soms onvoldoende prikkels hebben om zelf het voor Nederland benodigde onderzoek ten behoeve van de pakkettoelating uit te voeren, bijvoorbeeld omdat het gevraagde onderzoek specifiek is voor Nederland en niet van bredere waarde voor de firma. Naar verwachting zal dit onderzoek dan niet worden uitgevoerd.

Het gaat dan om de volgende situaties:

- de standaardbehandeling in Nederland wijkt af van de behandeling waar het geneesmiddel in de studie(s) mee is vergeleken, en wijkt ook af van de (meeste) landen in Europa,
- de uitkomstmaten die gevraagd worden voor het aantonen van effectiviteit in Nederland komen niet overeen met andere landen (b.v. omdat het Zorginstituut of zorgverzekeraars daarin andere keuzes hebben gemaakt dan andere landen),
- de beroepsgroep in Nederland ziet mogelijke waarde bij een specifieke subgroep waarvoor extra onderzoek nodig is en dat niet wordt uitgevoerd voor andere landen.

De Nederlandse medische beroepsgroep wijkt bij het opstellen van richtlijnen en behandelingen soms bewust af van internationale standaarden. Deze afwijkingen zijn meestal gebaseerd op wetenschappelijk gefundeerde redenen en de specifieke context van de Nederlandse populatie of gezondheidszorg.

De precieze details moeten nog worden uitgewerkt, maar er wordt gedacht aan voorwaarden zoals: het benodigde onderzoek zal naar verwachting niet binnen redelijke termijn (zie verderop in deze bijlage) door de firma zelf worden uitgevoerd, de benodigde informatie kan ook niet worden verkregen door

⁸ weesgeneesmiddelen, conditionals en exceptionals

⁹ Dat kan via een gezamenlijk Europees wetenschappelijk advies (de Joint Scientific Consultation), zoals is geregeld in de Europese Health Technology Assessment verordening (EUHTAr), of door indiening van een proef dossier bij het Zorginstituut.

bijvoorbeeld een indirecte vergelijking met ander onderzoek of extrapolatie van data. Bovendien moeten de richtlijnen van de beroepsgroep nog actueel zijn omdat deze informatie geven over de huidige standaardbehandeling. Ook moet het gaan om veelbelovende geneesmiddelen (daar wordt later in deze bijlage verder op ingegaan). Bij een volgende evaluatie kan worden bekeken of hiermee de juiste geneesmiddelen in de VT terecht komen.

Het kabinet is voornemens om de VT open te stellen voor deze categorie geneesmiddelen (waarbij het gevraagde onderzoek specifiek is voor Nederland en niet van bredere waarde voor de firma) en niet langer te richten op weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals*. Voor de duidelijkheid, dit betekent dat alle geneesmiddelen waar het onderzoek om bovenstaande redenen niet door een firma wordt uitgevoerd in aanmerking komen, niet alleen wanneer het een weesgeneesmiddel, *conditional* of *exceptional* betreft. Weesgeneesmiddelen of *conditionals* komen alleen nog in aanmerking wanneer is voldaan aan de voorgestelde aangepaste afbakening en de overige VT criteria.

Het is onvermijdelijk dat met de nieuwe afbakening geneesmiddelen worden vergoed van firma's die in principe voldoende omzet hebben om dit onderzoek zelf te betalen. Maar we zien dat firma's studies die specifiek nodig zijn voor Nederland, vaak niet uitvoeren. Zonder de voorgestelde VT zouden deze geneesmiddelen naar verwachting dan ook niet beschikbaar komen voor patiënten in Nederland. Om de risico's voor de maatschappij te beperken kan worden overwogen een budget cap in te stellen per VT-traject (zie later in deze bijlage).

Sommige deelnemers aan de evaluatie zien de VT als een instrument om ook doelmatigheidsonderzoek (gericht op minder geneesmiddelgebruik per patiënt) als voorwaarde te stellen voor vergoeding. Het kabinet is echter van mening dat onderzoek naar ander gebruik van een geneesmiddel dat al voldoet aan de pakketcriteria¹⁰ geen onderdeel moet zijn van de VT. De VT is primair bedoeld voor het aantonen van pakketwaardigheid. Er zijn andere instrumenten om dergelijk onderzoek te faciliteren. Dit type onderzoek kan bijvoorbeeld, na pakketopname, door de beroepsgroep worden uitgevoerd via het Goed Gebruik Geneesmiddelen (GGG) subsidieprogramma of de 'gerichte procedure'¹¹. Daarnaast wordt in het voorlopige politieke akkoord voor de Europese farmaceutische wetgeving voorgesteld om zogenaamde *dose-optimization* studies verplicht te kunnen stellen voor (definitieve) markttoelating.

In lijn hiermee is het kabinet voornemens om de huidige doelstelling van de VT 'bevordering van doelmatige inzet van het betreffende middel' te laten vervallen. Het verzamelen van data over doelmatig gebruik vraagt extra inzet van firma's, de onderzoeksinstelling, behandelaars en patiënten. In de huidige VT-procedure staat dat dergelijk onderzoek, waar mogelijk, gedaan moet worden. Bijvoorbeeld door de inzet van een indicatiecommissie, het ontwikkelen en aanscherpen van start- en stopcriteria, het optimaliseren van de dosering en het identificeren van eventuele subpopulaties van patiënten'. Wanneer deze elementen meegenomen kunnen worden in het onderzoek, mag dat nog steeds. Maar het kabinet vindt dit niet langer passend als doelstelling voor de VT-regeling die gericht is op het aantonen van pakketwaardigheid.

Looptijd van de VT

Uit de evaluatie blijkt dat de huidige lange (maximale) looptijd van 7 of 14 jaar niet wenselijk is. In die tijd kan het behandelandschap aanzienlijk veranderen, bijvoorbeeld door de introductie van nieuwe geneesmiddelen. De vraag is dan welke waarde de uitkomsten van het onderzoek nog hebben aan het einde van de onderzoeksperiode. Uit de evaluatie blijkt daarnaast dat de maximale looptijd van 14 jaar een negatieve invloed heeft op de beeldvorming (bij firma's) over de VT. Het is voor hen niet altijd duidelijk dat het gaat om een *maximale* termijn. Het rapport raadt VWS aan te overwegen de looptijd van de VT te maximeren op ~5 jaar. De termijn lijkt lang genoeg voor het uitvoeren van het benodigde onderzoek, maar niet zo lang dat het behandelandschap na deze periode te veel is veranderd. Het kabinet is het daarmee

¹⁰ Off label gebruik of (ander) onderzoek dat kan leiden tot volumereductie van het geneesmiddel

¹¹ Vergaderjaar 2023-2024, 29477 nr. 883

eens en wil deze wijziging zo spoedig mogelijk invoeren voor nieuwe trajecten. Daarbij wordt voorgesteld dat het mogelijk wordt om eenmalig verlening aan te vragen van een jaar, mits goed onderbouwd (waarom de verlenging noodzakelijk is en gaat leiden tot resultaten) en onder voorwaarde dat het geneesmiddel nog voldoet aan de criteria *unmet medical need* (onvervulde medische behoefte) en 'veelbelovend'.

Harmonisatie VT met de ODAP en DAP

Het evaluatierapport raadt aan om de VT te harmoniseren met het *Orphan Drug Access Protocol* (ODAP) en het *Drug Access Protocol* (DAP) binnen het nieuw in te richten stelsel van pakkettoelating van geneesmiddelen (TSG) waaraan het Zorginstituut, in opdracht van het Kabinet, werkt¹². De ODAP en DAP zijn na het ontstaan van de VT opgericht op initiatief van diverse partijen, waaronder Zorgverzekeraars Nederland (ZN). Deze initiatieven zijn ook gericht op het geven van toegang aan patiënten tot geneesmiddelen waarbij onzekerheid bestaat over de effectiviteit, in combinatie met een vorm van onderzoek. De ODAP is gericht op niet-oncologische weesgeneesmiddelen en de DAP op geneesmiddelen voor kleine oncologische indicaties¹³. Zowel DAP als ODAP beoordelen in eerste instantie de uitkomsten in een individuele patiënt. Betaling door de zorgverzekeraar vindt plaats indien een individuele patiënt een behandeluitkomst heeft die voldoet aan vooraf opgestelde individuele criteria. Uiteindelijk wordt bij de DAP en ODAP net als bij de VT gestreefd naar een definitieve conclusie over pakketwaardigheid op basis van een beoordeling van de effectiviteit. Bij beide routes moet echter nog blijken of het in de praktijk haalbaar is om effectiviteit aan te tonen, ook gezien de doorlooptijd (maximaal 3 jaar bij de DAP en 5 jaar bij de ODAP). Beide initiatieven vertonen overlap met de VT en het is daarom niet altijd helder welke procedure per geneesmiddel het meest passend is. In de volgende paragrafen wordt ingegaan op de vraag of en in welke vorm deze routes een plek zouden moeten krijgen in het TSG.

Ultra-weesgeneesmiddelen

De evaluatie raadt aan een alternatieve regeling op te zetten voor ultra-weesgeneesmiddelen¹⁴ omdat het aantonen van effectiviteit volgens de reguliere vereisten vaak niet haalbaar is. Het kabinet onderschrijft de noodzaak van een specifiek traject voor deze middelen, zeker nu er sprake lijkt te zijn van een toename van zeer gepersonaliseerde therapieën voor hele kleine aantallen patiënten¹⁵. Hierover wordt overleg gevoerd met het Zorginstituut. Het Zorginstituut heeft voorgesteld een aparte route voor ultra-weesgeneesmiddelen te introduceren binnen het TSG. Het kabinet ziet dit als een goed voorstel. De precieze afbakening hiervan wordt nog uitgewerkt¹⁶. Daarnaast heeft het Zorginstituut aandacht voor de beoordeling van kosteneffectiviteit van deze geneesmiddelen omdat dit vaak lastig is bij hele kleine aantallen patiënten. Ook hierop wordt nader ingegaan in de weesgeneesmiddelenbrief die voor de zomer met uw Kamer wordt gedeeld.

Het is de vraag hoe wenselijk het is om weesgeneesmiddelen waarvoor het wel mogelijk is om pakketwaardigheid vast te stellen binnen een redelijke termijn, en waarvoor een firma het onderzoek ook zelf kan uitvoeren, nog via de (O)DAP te vergoeden. Elementen van de ODAP kunnen wel onderdeel uitmaken van het TSG, zoals afspraken over gepaste inzet van het middel, financiële afspraken en

¹² Het kabinet zal de Kamer over de voortgang van TSG nog voor de zomer informeren.

¹³ Tabel 4 van het VT evaluatie rapport geeft een meer gedetailleerd overzicht van (de verschillen tussen de VT,) de DAP en ODAP ([file](#)).

¹⁴ Ultra weesgeneesmiddelen zijn geneesmiddelen die bestemd zijn voor de behandeling van zeer zeldzame ziekten. Voor ultra-weesgeneesmiddelen is geen duidelijke definitie, maar soms wordt een aantal van 1 op de 50.000 mensen gehanteerd. Soms gaat het hierbij om slechts enkele patiënten.

¹⁵ 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.

¹⁶ Dit kan (een deel van de) geneesmiddelen betreffen die nu binnen de VT, ODAP, DAP of het Drug Rediscovery Protocol (DRUP) vallen, indien voldaan aan de nog vast te stellen criteria voor 'ultrawees'. Het DRUP protocol betreft onderzoek voor patiënten met vergevorderde of uitgezaaide kanker voor wie geen standaardbehandeling meer beschikbaar is. Onderzocht wordt of voor deze patiënten doelgerichte therapie - bedoeld voor andere kankersoorten, maar wel met dezelfde kankerelkenmerken - effectief is.

eventueel een pay-for-performance component¹⁷. Hierover wordt overleg gevoerd met het Zorginstituut en de zorgverzekeraars.

criterium veelbelovend

Het kabinet vindt het belangrijk dat alleen veelbelovende geneesmiddelen worden vergoed via de VT. Daarmee wordt bedoeld dat het aannemelijk is dat patiënten baat kunnen hebben bij het geneesmiddel. Zeker nu blijkt dat veel geneesmiddelen die onder voorwaarden door het EMA zijn toegelaten (de *conditionals*) uiteindelijk onvoldoende meerwaarde blijken te hebben. Veelbelovendheid van het geneesmiddel is op dit moment geen expliciete voorwaarde voor een VT-traject. Dit is bijvoorbeeld wel het geval bij de ODAP. Het kabinet vindt het wenselijk om dit criterium als formele voorwaarde toe te voegen aan de VT. Het zogenaamde Praktijkomschrijving introductie geneesmiddel (PIG)-formulier zou een goede basis kunnen zijn om hierover informatie op te halen bij de beroepsgroep. Dit formulier wordt ingevuld door de wetenschappelijke verenigingen voor de beoordeling van nieuwe geneesmiddelen of indicaties. Hierbij wordt informatie aangeleverd ten behoeve van de beoordeling van een nieuw geneesmiddel en/of indicatie en moet de toegevoegde waarde van het geneesmiddel worden ingeschat. Op deze manier wordt het criterium 'veelbelovend' zo gestandaardiseerd mogelijk beoordeeld. Hierover wordt overleg gevoerd met het Zorginstituut. Het kabinet wil deze voorwaarde zo spoedig mogelijk invoeren.

Sterk verlaagde prijs en transparantie over de uitgaven

Tijdens de evaluatie is onderzocht hoe de voorwaarde van een 'sterk verlaagde prijs' kan worden geconcretiseerd. Dit is een belangrijke voorwaarde voor de VT omdat de effectiviteit van het geneesmiddel nog onvoldoende is aangetoond. Het rapport stelt voor dat het Zorginstituut VWS adviseert over de maatschappelijk gewenste korting en dat dit advies wordt onderbouwd op basis van de zogenaamde *evidence gap* (onzekerheid rondom de effectiviteit). De benodigde prijskorting is hierbij dus afhankelijk van de mate van onzekerheid. Het kabinet is hierover in beginsel positief. In het recent uitgebracht advies MAUG dat het kabinet heeft ontvangen van de ACM, NZa en Zorginstituut¹⁸ is één van de zes uitgangspunten bij het beoordelen van een maatschappelijk aanvaardbare prijs het meewegen van de onzekerheid. Dit zou toegepast kunnen worden op de advisering over de prijs voor de middelen in de VT. De vraag is echter of deze methode toepasbaar is op onderzoek waar de Nederlandse situatie afwijkt. In dat geval is de *evidence gap* moeilijk te definiëren. Hierover wordt verleg gevoerd met het Zorginstituut.

Het evaluatierapport adviseert om de huidige manier van onderhandelen te blijven handhaven wanneer zou blijken dat de *evidence gap* methode niet op proportionele wijze kan worden geïmplementeerd. In dat geval wordt onderhandeld over de sterk verlaagde prijs, zonder dat het Zorginstituut een kortingsadvies geeft. De prijs die VWS dan betaalt wordt vooral bepaald door het totale budget dat voor de VT beschikbaar is, gedeeld door het verwachte aantal VT-trajecten. Daarbij kan worden overwogen een maximum budget per VT te hanteren, b.v. 3 miljoen euro. Dit bedrag past bij een aantal van twee VT trajecten per jaar, een maximale duur van 6 jaar en een budget van 38 miljoen. Hiermee kan worden voorkomen dat een onevenredig groot budget aan één VT traject wordt uitgegeven. Na afronding van de VT, wanneer de effectiviteit is aangetoond en het geneesmiddel (kosten)effectief is bevonden, kan, indien mogelijk, worden overwogen om bij de prijsonderhandelingen over de definitieve prijs rekening te houden met de eventuele misgelopen inkomsten. Bij een negatieve uitkomst worden de reeds gemaakte uitgaven niet teruggevorderd.

De vraag of het beschikbare budget voor de VT voldoende is, kan pas worden beantwoord wanneer er meer bekend is over het aantal trajecten, het aantal patiënten en de methode voor het bepalen van de 'verlaagde prijs'.

¹⁷ Zie hiervoor ook de Kamerbrief met aandachtspunten bij de inzet van pay-for-performance: <https://zoek.officielebekendmakingen.nl/kst-29477-757.pdf>

¹⁸ [Rapport - Naar maatschappelijk aanvaardbare prijzen voor dure medicijnen | Zorginstituut Nederland](#)

Uit de evaluatie blijkt verder dat transparantie over de uitgaven per geneesmiddel een reden is voor firma's om niet deel te nemen aan de VT. Zij vrezen dat de korting door andere landen zal worden gebruikt in prijsonderhandelingen en/of *external reference pricing*¹⁹. Het kabinet heeft begrepen dat firma's ook vrezen dat de verlaagde prijs doorwerkt naar andere geneesmiddelen met onzekerheid en daarom niet bereid zijn om deel te nemen aan de VT. Het kabinet hecht aan het principe van een sterk verlaagde prijs, en verantwoording naar de maatschappij. Tegelijk is het duidelijk dat de eis van openbaarmaking niet bijdraagt aan het primaire doel van de VT: het beschikbaar maken van veelbelovende geneesmiddelen in combinatie met onderzoek naar de effectiviteit. Op basis hiervan en de voorgestelde concretisering van de sterk verlaagde prijs, is besloten de eis van openbaarmaking van uitgaven per geneesmiddel te laten vallen. Mogelijk zal de prijs niet volledig betrouwbaar zijn, bijvoorbeeld wanneer het kortingsadvies van het Zorginstituut (of indien van toepassing het totale budget per VT) wel openbaar worden gemaakt. Deze wijziging gaat in zodra de concretisering van sterk verlaagde prijs is ingevoerd.

Betalingen voor de uitvoering van het onderzoek

In de huidige situatie betalen firma's deelnemende ziekenhuizen direct voor de dataverzameling in de VT. Uit de evaluatie blijkt dat deze directe betaling vanuit de firma onwenselijk is voor sommige zorgverleners, vanwege de (schijn van) belangenverstrengeling. Het rapport raadt aan om te verkennen of directe betaling van firma's aan deelnemende centra, en daarmee aan zorgverleners, kan worden voorkomen. Om dit te realiseren moet een derde partij betrokken worden. In het SiRM rapport worden de mogelijke nadelen hiervan beschreven. Wanneer een derde partij (bijvoorbeeld ZonMw, het Zorginstituut of de FMS) betrokken raakt bij de financiering van deze ziekenhuizen en zorgverleners zal deze partij ook een rol (moeten) innemen in de (beoordeling van) doelmatige inzet van de middelen. Dat kan leiden tot extra regeldruk. Het kabinet vindt dat niet wenselijk. Daarom wordt onderzocht of het voordeel van het betrekken van een derde partij opweegt tegen de nadelen en of er eenvoudiger te realiseren alternatieven zijn.

Initiator van het onderzoek en versnelling van voorbereidende fase

De evaluatie beveelt aan te verkennen of de beroepsgroep in de VT meer een trekkersrol kan krijgen, zoals dat bij de ODAP gebeurt. Een grotere rol van de beroepsgroep zou de doorlooptijd van de voorbereidende fase kunnen verkorten. Tegelijkertijd laat de evaluatie zien dat de beroepsgroep hier niet altijd op is toegerust of toe bereid is. Het is uiteindelijk van belang dat de firma het middel wil aanbieden en het onderzoek in de VT wil betalen. Daarom is besloten deze aanbeveling niet op te volgen. De betrokkenheid van de beroepsgroep is belangrijk, maar de primaire verantwoordelijkheid moet bij de firma blijven liggen. Door de vroegtijdige triage van geneesmiddelen in het TSG kunnen mogelijke VT kandidaten naar verwachting eerder worden geïdentificeerd, waarmee de voorbereidende fase ook kan worden versneld.

Gezamenlijke VT

In de huidige VT-procedure tekent een firma in het convenant dat twee concurrerende middelen gezamenlijk een VT-traject kunnen doorlopen²⁰. Uit de evaluatie blijkt echter dat de uitvoering van een gezamenlijk VT-traject in praktijk niet goed werkbaar is. In overleg met het Zorginstituut is besloten deze passage te verwijderen uit het convenant. Het is dan aan het veld om te kiezen tussen beide VT trajecten. Daarbij kan blijken dat een van beide producten als het meest veelbelovend wordt gezien. Wanneer er sprake is van een tweede, vergelijkbaar geneesmiddel, zullen in het convenant wel afspraken gemaakt moeten worden over de analyse van patiënten die van het ene naar het andere geneesmiddel

¹⁹ External Reference Pricing (ERP) is een prijsregulatiemethode voor geneesmiddelen waarbij de prijs in een land wordt bepaald op basis van de prijzen in een selecte groep van een aantal referentielanden.

²⁰ In het convenant staat de volgende tekstpassage: 'Bij een eventuele toekomstige VT-aanvraag voor een concurrerend middel, zoeken partijen samen naar een oplossing die het beste is voor de patiënt. In sommige gevallen kan dit betekenen dat twee concurrerende middelen gezamenlijk een VT-traject doorlopen'.

overstappen. Wanneer twee VT producten tegelijk starten kan wel worden overwogen om te kiezen voor (het verplicht stellen van) een gezamenlijke VT.

Delen van tussenresultaten

Geïnterviewde firma's en patiëntenorganisaties geven aan dat zij gedurende de onderzoeksperiode van de VT graag zicht willen op tussentijdse onderzoeksresultaten zoals de effectiviteit van het geneesmiddel bij patiënten die meedoen aan het onderzoek. Het tussentijds meten van resultaten kan echter consequenties hebben voor de vereisten van statistische validiteit van het onderzoek. Alhoewel de wens van patiënten begrijpelijk is, is daarom besloten hier niet toe over te gaan. Daarbij komt dat de duur van het VT traject wordt teruggebracht van maximaal 14 jaar naar 5 jaar. Los hiervan wordt de inclusie en de haalbaarheid van het onderzoekstraject jaarlijks gemonitord. Het Zorginstituut kan adviseren over het al dan niet voortzetten van het onderzoekstraject.

Beschikbaarheid van geneesmiddelen voor (sub-)indicaties die in toekomst nauwelijks meer zullen bestaan

Voor ziektes waarvoor eerder geen behandeling beschikbaar was (*unmet medical need*), komt vroegdiagnostiek (b.v. de hielprik) vaak pas beschikbaar wanneer een nieuwe behandeling in zicht is. Bij zogenaamde degeneratieve aandoeningen worden patiënten steeds zieker naarmate ze ouder worden. Door vroegdiagnostiek en daarmee start van de behandeling op jonge leeftijd, zal het aantal ernstig zieke oudere patiënten afnemen. Dan lijkt het beantwoorden van de pakketvraag voor een oudere patiëntgroep, bijvoorbeeld binnen de VT, niet meer proportioneel. Het rapport adviseert VWS om te verkennen of beschikbaarheid van het geneesmiddel voor de oudere patiëntgroep op een andere manier te borgen is, zonder daarbij altijd onderzoek of andere dataverzameling te eisen. Hierover moet nog een beslissing worden genomen. Maar het is belangrijk om hier nogmaals te benadrukken dat het kabinet over het algemeen geen voorstander is van het vergoeden van geneesmiddelen waarvan de effectiviteit (nog) onvoldoende is aangetoond.

Invoering aanpassingen

Het kabinet stelt een gefaseerde invoering voor van de aanpassingen. Aanpassingen die relatief eenvoudig zijn te realiseren kunnen op korte termijn worden ingevoerd. Meer complexe aanpassingen vragen nog om nader onderzoek en afstemming en worden, wanneer van toepassing, op langere termijn doorgevoerd. Het streven is om deze aanpassingen te hebben doorgevoerd op het moment dat het TSG van kracht wordt. Tot die tijd worden de bestaande voorwaarden gevolgd voor de betreffende punten.

Samenvatting huidig en nieuw VT beleid

Tabel 1. Belangrijkste kenmerken huidig en nieuw VT beleid

| | Huidige beleid | Toekomstig beleid | Status |
|---------------------|---|--|---|
| Doelstelling | Pakketwaardigheid aantonen en toegang voor patiënten. Waar mogelijk: bevordering van doelmatige inzet van het betreffende middel | Pakketwaardigheid aantonen en toegang voor patiënten | Doelstelling bevordering van doelmatige inzet van het betreffende middel vervalt per direct voor nieuwe VT trajecten |
| Afbakening | Weesgeneesmiddelen, conditionals, exceptionals | VT: Geneesmiddelen waarvoor het benodigde onderzoek voor pakketwaardigheid niet van een firma kan worden verwacht omdat het specifiek is voor Nederland. Nieuwe route voor beoordeling van ultra-weesgeneesmiddelen | Nadere discussie en afstemming gaande Nadere discussie en afstemming gaande |
| Duur VT | Maximaal 14 jaar | Maximaal 5 jaar, met eenmalige mogelijkheid tot verlenging | Per direct voor nieuwe VT trajecten |
| Voorwaarden | De hoofddiener van het dossier en trekker van het onderzoek is de registratiehouder | De hoofddiener van het dossier en trekker van het onderzoek is de registratiehouder | |
| | EMA registratie | EMA registratie | |
| | Unmet medical need | Unmet medical need en veelbelovend | De wijze waarop 'veelbelovendheid' wordt vastgesteld wordt onderzocht en gaat na een besluit daarover direct in. |
| | Sterk verlaagde prijs | Sterk verlaagde prijs | In overleg met het Zorginstituut over de concretisering sterk verlaagde prijs bij onzekerheid. De optie van een budget cap wordt ook onderzocht. |
| | Totale uitgaven aan een geneesmiddel in VT worden openbaar gemaakt in begroting VWS | Voorwaarde vervalt | Gaat in gelijk met concretisering sterk verlaagde prijs |
| Gezamenlijke VT | Convenant: twee concurrerende middelen kunnen gezamenlijk een VT-traject doorlopen | Deze verplichting vervalt | Per direct voor nieuwe VT trajecten |