

29477 Geneesmiddelenbeleid

Nr. 975 Brief van de minister van Volksgezondheid,
Welzijn en Sport

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 28 mei 2026

Op 3 juli 2025 heeft toenmalig minister van VWS het rapport van de beleidsmatige evaluatie van de voorwaardelijke toelating weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals*¹ (VT) met de Kamer gedeeld².

Het rapport constateert dat de VT wordt gezien als een goede aanvulling op de andere routes om geneesmiddelen te vergoeden vanuit het basispakket. Maar uit de evaluatie blijkt ook dat de VT tot nu toe weinig impact had, onder meer omdat er maar weinig van gebruik is gemaakt. Het evaluatierapport komt met een aantal aanbevelingen om de VT te verbeteren.

De toenmalig minister van VWS heeft aangegeven de appreciatie van de aanbevelingen begin dit jaar met de Kamer te delen. Dat doet het kabinet in deze brief. Daarnaast worden ook nieuwe ontwikkelingen meegenomen zoals de toenemende druk op het zorgbudget.

Het kabinet heeft de afbakening van de VT, mede in dit licht, kritisch bekeken en geconcludeerd dat het niet langer gerechtvaardigd is om een aparte route voor weesgeneesmiddelen, *conditionals* en *exceptionals* in stand te houden, maar dat een andere afbakening wel een mogelijkheid zou kunnen zijn. In de appreciatie in deze brief wordt beschreven hoe het kabinet tot deze conclusie is gekomen. Daarbij worden ook de dilemma's bij de VT besproken.

Met deze brief wordt het voorstel tot aanpassing van de VT voorgelegd aan de relevante partijen, met name farmaceutische firma's omdat de voorgestelde afbakening gericht is op onderzoek waarvoor zij onvoldoende prikkels hebben om dit zelf uit te voeren. Op basis van deze consultatie zal het kabinet besluiten tot definitieve aanpassing of, bij onvoldoende draagvlak (bijvoorbeeld

¹ 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. Het kan dan alsnog gaan om honderden patiënten. 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. 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.

² Kamerstuk 29477, nr. 942

vanwege de sterk verlaagde prijs die een voorwaarde is binnen de VT), tot afschaffing van de VT.

Opbouw van de brief en bijlage

Deze brief gaat allereerst in op de achtergrond van de VT en de evaluatie daarvan. Daarbij wordt beschreven hoe de reguliere route naar markttoelating en vergoeding er uitziet en hoe dit zich verhoudt tot de VT. Daarna volgt de reactie van het kabinet op de VT evaluatie. Daarbij wordt eerst stil gestaan bij vragen rondom de wenselijkheid van de VT en hoe de VT zich verhoudt tot zogenaamde *early access* regelingen. Vervolgens volgt een kort overzicht van de belangrijkste voorgestelde wijzigingen.

In de eerste bijlage worden de conclusies en aanbevelingen verder toegelicht, met voorstellen voor de verdere opvolging. In tabel 1 in de bijlage is een overzicht te vinden van de huidige situatie en de voorgestelde aanpassingen.

Als tweede bijlage vindt u ook de voortgangsrapportage van de VT over het jaar 2025.

Achtergrond van de VT

Geneesmiddelen worden eerst door het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen (CBG) of het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) beoordeeld op kwaliteit, veiligheid en werkzaamheid. Met dat laatste wordt absolute effectiviteit bedoeld d.w.z. het geneesmiddel heeft een effect. Als een geneesmiddel aan alle eisen voldoet, wordt het toegelaten tot de Europese markt. Na het verlenen van de handelsvergunning voor de Europese markt hebben alle lidstaten een eigen procedure om te bepalen of het geneesmiddel wordt vergoed voor patiënten. In Nederland beoordeelt het Zorginstituut dan wel de zorgverzekeraar of het geneesmiddel voldoet aan het wettelijke criterium 'de stand van wetenschap en praktijk' (SWP) en kan worden toegelaten tot het verzekerde pakket. Dit betekent dat wordt beoordeeld of het nieuwe geneesmiddel tenminste even effectief of effectiever is dan de huidige standaardbehandeling (d.w.z. de relatieve effectiviteit, hierna aangeduid als effectiviteit).

Er komen steeds meer geneesmiddelen op de markt met relatief weinig bewijs over de effectiviteit. Dit hangt onder meer samen met versnelde toelatingsprocedures bij het EMA³. Daardoor worden geneesmiddelen met beperkt bewijs, zoals een korte follow-up of ontbreken van een controlegroep, soms toch al toegelaten tot de markt. Het komt voor dat een geneesmiddel wel een handelsvergunning heeft, maar dat het bewijs (nog) onvoldoende is

³ B.v. via *Conditional marketing authorisation*. De *conditional marketing authorisation* is een toelatingsprocedure van de European Medicines Agency waarmee een geneesmiddel eerder op de markt kan komen, ook alsnog niet alle klinische data compleet zijn. Daarbij moet aan bepaalde voorwaarden worden voldaan, zoals een grote onvervulde medische behoefte.

om aan het pakketcriterium 'effectiviteit' te voldoen, een vereiste voor pakkettoelating. De VT maakt het mogelijk dat deze geneesmiddelen tijdelijk worden vergoed uit het basispakket wanneer aan de bijbehorende criteria is voldaan. Daarmee kunnen patiënten met een vaak ernstige, zeldzame ziekte waarvoor nog geen goede behandeling is, toch behandeld worden.

Om in aanmerking te komen voor de VT moet een geneesmiddel bijvoorbeeld zijn geregistreerd door het EMA, er moet sprake zijn van een *unmet medical need* (onvervulde behandelbehoefte), en het geneesmiddel moet vallen binnen de afbakening (in de bijlage wordt hier in meer detail op in gegaan). Een andere voorwaarde is dat de firma gedurende de periode van voorwaardelijke toelating het geneesmiddel moet aanbieden voor een prijs die passend is bij de onzekerheid over de effectiviteit (in de VT is dit aangeduid als 'een sterk verlaagde prijs').

Tijdens de VT wordt (aanvullend) onderzoek gedaan naar de effectiviteit van het middel, zodat aan het einde van het traject, uiterlijk na 14 jaar, een uitspraak gedaan kan worden over definitieve opname in het basispakket. De kosten van het geneesmiddel, en de daarmee gepaard gaande behandeling, worden via de VT door zorgverzekeraars vergoed vanuit de zorgverzekering. Daarvoor is een structureel jaarlijks budget beschikbaar van circa € 36 miljoen. De firma is verantwoordelijk voor financiering van (de organisatie van) het onderzoek.

Beleidsmatige evaluatie van de VT

De VT is in oktober 2019 opgesteld en geïntroduceerd als permanente regeling. De regeling wordt uitgevoerd door het Zorginstituut Nederland (het Zorginstituut).

Elke vijf jaar wordt door het ministerie van VWS een beleidsmatige evaluatie van de VT-procedure uitgevoerd. Deze brief is de appreciatie van de eerste beleidsmatige evaluatie. Deze evaluatie is gericht op de vraag of de doelstellingen van het beleid worden behaald, of het budget toereikend is om deze doelstellingen te behalen en of er andere ontwikkelingen zijn die aanleiding geven tot aanpassing van het beleid.

De evaluatie is uitgevoerd door een externe partij, het strategisch adviesbureau SiRM. De aanbevelingen uit de evaluatie zijn onder meer gebaseerd op interviews met patiëntenorganisaties, maatschappelijke organisaties, branche- en beroepsverenigingen van onder andere behandelaren en farmaceutische bedrijven, individuele firma's, Zorgverzekeraars Nederland (ZN), het Zorginstituut en medewerkers van het ministerie van VWS.

De belangrijkste aanbevelingen zijn:

- VWS kan de VT verbreden naar geneesmiddelen die geen weesgeneesmiddel, *conditional* of *exceptional* zijn, in gevallen waarbij er onvoldoende prikkels voor firma's zijn om zelf het voor Nederland benodigde onderzoek uit te voeren. Bijvoorbeeld omdat het gevraagde onderzoek specifiek is voor Nederland en niet van bredere waarde voor de firma.
- VWS kan overwegen de looptijd van de VT te maximeren op ~5 jaar en een alternatieve regeling op te zetten voor (ultra)-weesgeneesmiddelen waarvoor het beantwoorden van de pakketvraag meer dan ~5 jaar vraagt of waar het niet waarschijnlijk is dat effectiviteit op groepsniveau kan worden aangetoond.
- VWS kan de VT, binnen het TSG, harmoniseren met het *Orphan Drug Access Protocol* (ODAP) en het *Drug Access Protocol* (DAP) (dit zijn door zorgverzekeraars geïnitieerde routes voor geneesmiddelen waarbij onzekerheid bestaat over de effectiviteit).
- VWS kan verkennen of het Zorginstituut een onderbouwd advies kan geven over de "sterk verlaagde prijs" van een geneesmiddel, die voorwaarde is bij de VT, en om daarvoor de *evidence gap* (onzekerheid rondom de effectiviteit) te hanteren als methode.
- VWS kan verkennen of geneesmiddelen voor (sub-)indicaties die in toekomst nauwelijks meer zullen bestaan (vanwege beschikbaar komen van vroegdiagnostiek) op een andere manier dan via de VT toegankelijk kunnen worden gemaakt.
- Daarnaast heeft SiRM een aantal aanbevelingen aan VWS om de werking van de VT-regeling verbeteren, zoals het laten vervallen van de voorwaarde dat de uiteindelijk betaalde uitgaven publiekelijk beschikbaar worden.

Reactie kabinet op de aanbevelingen

Het kabinet waardeert de aanbevelingen vanuit de evaluatie zeer en neemt deze informatie mee bij de voorstellen tot aanpassing van het VT-beleid.

Wenselijkheid van voorwaardelijke toelating en early access

Het kabinet herkent het beeld vanuit de evaluatie dat de VT tot op heden weinig impact heeft gehad. Na vervolgoverleg met het Zorginstituut ziet het kabinet ook dat de eventuele waarde van de VT nu niet in verhouding lijkt te staan tot de benodigde capaciteit die het kost. Maar het kabinet herkent ook de vraag van partijen om de mogelijkheid van (een vorm van) voorwaardelijke toelating. Dit komt bijvoorbeeld naar voren in de motie Bushoff⁴ die verzoekt om te onderzoeken of het Zorginstituut de mogelijkheid kan krijgen

⁴ Kamerstuk 29 477, nr. 856: 'verzoekt de regering te onderzoeken of het Zorginstituut de mogelijkheid kan krijgen om geneesmiddelen voorwaardelijk toe te laten, tot de effectiviteit van een middel in de praktijk is getest, en tijdens de voorwaardelijke toelating de middelen voor een lager instaptarief beschikbaar te stellen'.

om geneesmiddelen voorwaardelijk toe te laten tot de effectiviteit van een middel in de praktijk is getest, en tijdens de voorwaardelijke toelating de middelen voor een lager instaptarief beschikbaar te stellen.

Tegelijk wijst de evaluatie ook op de moeilijkheid om het VT-beleid succesvol te maken: enerzijds is er de behoefte om patiënten met een onvervulde medische behoefte snel toegang te geven tot veelbelovende geneesmiddelen, anderzijds is de effectiviteit van deze geneesmiddelen nog niet bewezen en moet die snelle toegang in verhouding staan tot de regels die gelden voor het reguliere pakketbeheer (bewijslast versus de prijs) en moeten er dus voorwaarden gesteld worden. Daarbij ligt de uitdaging in het bedenken van voorwaarden die enerzijds recht doen aan het bredere maatschappelijk perspectief en het streven van dit kabinet om alleen effectieve zorg te vergoeden vanuit het basispakket, en anderzijds de VT niet zo onaantrekkelijk maken, dat het in de praktijk een dode letter blijkt.

Het kabinet wil hier graag verduidelijken dat de VT niet hetzelfde is als een zogenoemde *early access* of beschikbaarheidsregeling. *Early access* regelingen zijn bedoeld om snel na markttoelating vergoeding mogelijk te maken van geneesmiddelen, vooruitlopend op een beoordeling van de effectiviteit,

kosteneffectiviteit en eventuele (definitieve) prijsonderhandeling. Het kabinet gaat ervanuit dat de motie Bushoff hiertoe oproept. Ook vanuit de farmaceutische industrie wordt regelmatig gepleit voor een vorm van *early access*.

Snelle toegang ondermijnt echter de onderhandelpositie van de overheid omdat er al een vergoeding is geregeld voordat er een beoordeling van de pakketcriteria heeft plaatsgevonden. Daarmee leidt het tot hogere prijzen en dus uiteindelijk hogere uitgaven⁵. Het kabinet ziet ook dat snelle toelating in de praktijk vaak

gepaard gaat met 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 stellen⁶. We betalen dan (tijdens de periode van voorwaardelijke toelating) voor geneesmiddelen waarvan de effectiviteit later onvoldoende blijkt te zijn. Bovendien verwacht het kabinet dat het in de praktijk vaak

⁵ Kamerstuk 29477, nr. 869

⁶ <https://www.uu.nl/nieuws/veel-nieuwe-kankermedicijnen-in-de-eu-hebben-geen-bewezen-toegevoegde-waarde>

niet haalbaar zal zijn om tot het voorgestelde lager instaptarief te komen⁷.

Bij de VT moet eerst een onderzoeksvoorstel worden opgesteld en beoordeeld, en moet over de prijs worden onderhandeld. Dat kost tijd, maar is in het belang van het bredere maatschappelijke perspectief. In deze brief en bijlage beschrijft het kabinet hoe invulling wordt gegeven aan de wens om een vorm van voorwaardelijke toelating mogelijk te maken. Zo geeft het kabinet uitvoering aan de motie Busshoff.

Belangrijkste aanpassingen naar aanleiding van de aanbevelingen

De belangrijkste voorgestelde aanpassing, is het herzien van de afbakening. Daarmee komt het kabinet deels tegemoet aan de aanbevelingen vanuit de evaluatie.

In het licht van de bredere discussie over 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 is vaak als gevolg van versnelde EMA toelating van het geneesmiddel met beperkt bewijs. De VT is dan eigenlijk niet meer dan een beschikbaarheidsregeling terwijl dat niet het primaire doel van de regeling is. De firma heeft in principe de verantwoordelijkheid om de bewijslast voor de effectiviteit van zijn geneesmiddel aan te leveren, ook voor weesgeneesmiddelen, *conditionals en exceptionals*.

Bij onzekerheid over effectiviteit in de praktijk kan, wanneer van toepassing, gekozen worden voor bestaande opties zoals afspraken over start-stop criteria, een pay-for-performance component⁸ of een herbeoordeling.

Het kabinet vindt het voor deze geneesmiddelen dus niet langer nodig om een aparte route mogelijk te maken⁹ en stelt daarom voor om de VT niet langer te richten op weesgeneesmiddelen, *conditionals en exceptionals*. Deze geneesmiddelen komen alleen nog in aanmerking wanneer is voldaan aan de hieronder voorgestelde aangepaste afbakening (en de overige VT-criteria).

⁷ Zie hiervoor bijvoorbeeld de beantwoording van vragen over het cost-plus model die in het schriftelijk overleg gesteld zijn naar aanleiding van het beleidsadvies Maatschappelijk Aanvaardbare Uitgaven aan Geneesmiddelen (MAUG).

⁸ Kamerstuk 29 477, nr. 757

⁹ Meer informatie hierover is te vinden in de Kamerbrief over weesgeneesmiddelen die ook voor de zomer met uw Kamer wordt gedeeld.

In lijn met de evaluatie stelt het kabinet voor de afbakening van de VT aan te passen naar geneesmiddelen waarvoor het gevraagde onderzoek specifiek is voor Nederland en niet van bredere waarde voor een firma, en waarvoor de benodigde informatie niet op een andere wijze kan worden verkregen, zoals een indirecte vergelijking.¹⁰ Soms heeft de Nederlandse beroepsgroep namelijk goede redenen om te kiezen voor een afwijkende standaardbehandeling of subgroep van patiënten. De precieze afbakening hiervan verdient verdere uitwerking, maar het is onvermijdelijk dat hierbij geneesmiddelen worden vergoed van firma's die dit onderzoek in principe zelf kunnen uitvoeren. We zien echter dat dit niet gebeurt.

Zonder een VT zouden deze geneesmiddelen naar verwachting niet beschikbaar komen voor patiënten in Nederland. En dat laatste is, bij veelbelovende middelen die voorzien in een onvervulde behandelbehoefte, wél het doel.

Het kabinet is ook bereid om, zoals aanbevolen, een alternatieve route (los van de VT) te introduceren voor ultra-weesgeneesmiddelen (waaronder gepersonaliseerde ultraweesgeneesmiddelen)¹¹. Hierover wordt overleg gevoerd met het Zorginstituut. Daarnaast heeft het Zorginstituut aandacht voor de beoordeling van kosteneffectiviteit van deze geneesmiddelen omdat dit vaak lastig is bij hele kleine aantallen patiënten. Hierop wordt nader ingegaan in de weesgeneesmiddelenbrief die tegelijk met deze brief met de Kamer wordt gedeeld.

In de bijlage worden verschillende opties besproken voor het concretiseren van de 'sterk verlaagde prijs', bijvoorbeeld een vast budget voor elke VT. Alle opties hebben nadelen. Aan de ene kant moet rekening worden gehouden met de prijs voor geneesmiddelen die op reguliere wijze worden toegelaten tot het verzekerde pakket. Aan de andere kant moet de vergoeding ook voldoende prikkels geven voor een firma om het middel aan te bieden voor een VT. Het kabinet probeert tot een haalbare oplossing te komen met een acceptabel risico voor de maatschappij.

¹⁰ De precieze details moeten nog worden uitgewerkt, zie ook de bijlage

¹¹ 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.

In de bijlage worden de voorstellen tot aanpassing van de VT in meer detail beschreven. Het kabinet stelt een aantal aanpassingen voor om de VT te verbeteren, zoals een verkorting van de looptijd.

Samenhang met het Toekomstbestendig stelsel geneesmiddelen (TSG)

De voorgestelde veranderingen in deze brief passen binnen de ontwikkelingen van de inrichting van het toekomstbestendige stelsel voor de toelating van nieuwe geneesmiddelen tot het verzekerde pakket, het TSG. Het kabinet zal de Kamer over de voortgang van TSG nog voor de zomer informeren. Nieuwe geneesmiddelen volgen een toelatingsroute tot het pakket afhankelijk van de onzekerheden of risico's die ze meebrengen. Overheid en zorgpartijen maken samen een keuze voor een passende route. Eén van de routes kan bestaan uit de VT, wanneer aan de betreffende criteria wordt voldaan.

Het lid Claassen heeft gevraagd om toelichting op het nieuwe systeem van Voorwaardelijke toelating, mede naar aanleiding van de discussie rond het weesgeneesmiddel Voxzogo¹². Het Zorginstituut zal de komende tijd uitwerken wanneer en hoe weesgeneesmiddelen en ultraweegeneesmiddelen door het instroomproces van TSG heen lopen. Met deze uitwerking, en de uitleg over de VT eerder in deze brief (Achtergrond van de VT), komt het kabinet tegemoet aan de toezegging aan lid Claassen.

Samenhang met het verbeteren van het pakketbeheer

In het IZA is afgesproken dat het mogelijk wordt om zorg die al vergoed wordt, maar waarbij er signalen zijn dat effectiviteit onzeker is, tijdelijk te blijven vergoeden onder voorwaarde dat er onderzoek plaatsvindt. Het kabinet is begin dit jaar gestart met het beleidskader Vergoeding in Onderzoek (ViO) waarmee deze mogelijkheid is gecreëerd¹³.

Tot slot

Het kabinet is zich ervan bewust dat de aanpassingen die (in de bijlage) worden beschreven niet volledig tegemoetkomen aan de wens van het veld om de VT uit te breiden en de route te versoepelen. Het is niet eenvoudig om tot beleid te komen dat tegemoetkomt aan alle aanbevelingen vanuit verschillende partijen, met soms uiteenlopende belangen. Het is daarom ook niet uit te sluiten dat het aantal VT-trajecten zal afnemen.

¹² Toezeggingen hulp- en geneesmiddelen debat 1 oktober 2025, TZ202510-173: 'In het voorjaar van 2026 wordt de Kamer geïnformeerd over de contouren van een nieuw systeem omtrent de werkwijze van de voorwaardelijke toelating (procedure), mede in relatie tot de uitvoering van de Motie inzake het versnellen van de sluisgeneesmiddelen. De werkwijze (procedure) zal aan de hand van een case en uitleg daarvan worden weergegeven'.

¹³ Kamerstuk 29 689, nr. 1322

Het kabinet wil de VT zo effectief mogelijk inzetten binnen het TSG en zorgen voor een goede balans tussen de beschikbaarheid van veelbelovende geneesmiddelen, de noodzaak van extra onderzoek, de bereidheid van firma's om hieraan mee te werken en het bredere maatschappelijk perspectief en betaalbaarheid van de zorg.

Het kabinet blijft zich inzetten voor ontwikkeling en toegang tot innovatieve geneesmiddelen waaraan een duidelijke, breed gedragen behoefte bestaat vanuit de samenleving.

De minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,
S.T.M. Hermans