FAST

Samen werken aan Future Affordable and Sustainable Therapies

ZonMw

FAST

Samen werken aan
Future Affordable and Sustainable Therapies

Oktober 2019

ZonMw

Colofon

ZonMw stimuleert gezondheidsonderzoek en zorginnovatie

Vooruitgang vraagt om onderzoek en ontwikkeling. ZonMw financiert gezondheidsonderzoek én stimuleert het gebruik van de ontwikkelde kennis – om daarmee de zorg en gezondheid te verbeteren.

ZonMw heeft als hoofdopdrachtgevers het ministerie van VWS en NWO.

Voor meer informatie over het programma Translationeel Onderzoek kunt u contact opnemen met het secretariaat via e-mail: translationeel@zonmw.nl of via telefoonnummer: 070 349 53 41.

Tekst: Pieter van Megchelen
Redactie: Sander Hougee, Henk Smid, Benien Vingerhoed-van Aken, Saco de Visser

Datum: 16 oktober 2019
Oplagecode: 10/2019/TO

ZonMw
Laan van Nieuw Oost-Indië 334
Postbus 93245
2509 AE Den Haag
Tel. 070 349 51 11
www.zonmw.nl
info@zonmw.nl

Sociale media

www.facebook.com/zonmwNL
www.twitter.com/zonmw
www.linkedin.com/company/zonmw
www.youtube.com/ZonMwTV

Inhoud

Inleiding……7
Uitgangspositie 7
Zorg, economie en wetenschap 7
Innovatiegolf 8
Samenhang creëren 8
Brede lange termijn visie 9
FAST…. 9
Huidige situatie 10
Synergie 11
Leeswijzer: programmalijnen 12
Programmalijn 1: Versterken infrastructuren en onderwijs 13
1. Onderwijs en infrastructuur therapieontwikkeling 13
2. Knelpunten en blokkades 13
3. Regulatoire wetenschap 14
4. Alternatieve ontwikkelings- en financieringsmodellen 14
Doorontwikkeling 15
Programmalijn 2: Speerpunten voor onderzoek en ontwikkeling 17
Speerpunten 17
1. Regeneratieve geneeskunde 17
2. Personalised medicine 18
3. Weesgeneesmiddelen 19
Inventarisatie en evaluatie 20
Programmalijn 3: Strategische verkenning van huidige ontwikkelingen en toekomstige kansen 21
Rondgang langs de velden 21
Strategische acquisitie 21
Inventarisatie infrastructuur en onderwijs 22
Meerwaarde door samenhang 23
De rol van bedrijven 23
Helicopter view 24
Knelpunten oplossen 25
Weesgeneesmiddelen en alternatieve ontwikkelingsmodellen 25
Internationale aspecten: de meerwaarde van Nederland 26
SPRING-PLANK 26
Vooraanstaande positie 26
Financiën: kleine organisatie, grote impact 27
Kristallisatiepunt 27
Synergie bevorderen 27
Stimuleringsfonds 27
Conclusie…. 28
FAST: sturing, afstemming, synergie 28

Inleiding

De ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen en medische interventies is sterk in beweging, onder meer door de opkomst van nieuwe therapieën (celtherapie, genetische modificatie, etc.), personalised medicine en regeneratieve geneeskunde. Dat biedt kansen om therapieën te ontwikkelen voor chronische ziekten en aandoeningen als dementie. Om de toekomstige therapieën – future
therapies – *optimaal van het laboratorium naar de individuele patiënt te brengen is een kennisintensief proces nodig, mogelijk met nieuwe businessmodellen en (publiek/private) samenwerkings- en financieringsmodellen. Door dit proces gericht te ondersteunen en bestaande initiatieven beter met elkaar te verbinden, ontstaan unieke kansen voor Nederland om een vooraanstaande positie in te nemen op het terrein van* Future Affordable and Sustainable Therapies (FAST)*. De randvoorwaarden hiervoor zijn al voor een belangrijk deel aanwezig. De vestiging van het EMA in ons land vormt een extra stimulans. Als we deze kansen nu benutten, komt dat de (Nederlandse) patiënten, de economie en de wetenschap ten goede. Deze schets moet de aanzet vormen voor FAST, een nieuw programma op het gebied van therapieontwikkeling, dat bestaande activiteiten met elkaar verbindt en nieuwe activiteiten initieert om het gehele proces van therapieontwikkeling te ondersteunen.*

Uitgangspositie

Nederland heeft een uitstekende uitgangspositie om bij te dragen aan de ontwikkeling van medische behandelingen van de toekomst, onder meer dankzij ons innovatieve en klinische onderzoek, ons hoge opleidingsniveau, ons innovatief bedrijfsleven en onze hoogwaardige gezondheidszorg. Nederlandse kennisinstellingen en bedrijven verzilveren al de vele mogelijkheden van de huidige technologische innovatiegolf (big data, Artificial Intelligence, genomics, personalised medicine, regeneratieve geneeskunde, nieuwe gentherapietechnieken zoals CRISPR-CAS9, etc.). De sterke uitgangspositie van ons land zal verder worden versterkt door de komst van het Europees Geneesmiddelen Agentschap (EMA) naar Amsterdam. Bij gericht beleid kan Nederland een vooraanstaande positie verwerven op het gebied van therapieontwikkeling. Daarvoor zijn wel extra inspanningen nodig, die met name gericht zijn op het vergroten van de succeskans van therapieontwikkeling door gebruik te maken van beschikbare kennis en expertise. Ondersteuning kan ook liggen in signalering (en aanpassing) van knelpunten in wet- en regelgeving. Kansrijke projecten moeten bovendien financieel kunnen worden ondersteund en gestimuleerd. Dat is wat FAST beoogt.

Zorg, economie en wetenschap

Het **maatschappelijke** belang van therapieontwikkeling is evident. Er zijn nog veel (chronische) aandoeningen en klachten waarvoor geen effectieve behandeling beschikbaar is, variërend van zeldzame en minder zeldzame (chronische) ziekten tot regelmatig voorkomende problemen met een grote impact op de kwaliteit van leven. Deze komen vaak naar voren bij patiëntenraadplegingen, zoals bijvoorbeeld jeuk bij brandwondpatiënten en vermoeidheid na chemotherapie.
Nieuwe ontwikkelingen maken ook een andere kijk op behandeling mogelijk. Personalised medicine (ook wel *precision medicine* genoemd) kan bijdragen aan een grotere effectiviteit met minder bijwerkingen voor de individuele patiënt. Regeneratieve geneeskunde houdt zelfs de belofte in van (volledig) herstel, waardoor verdere behandeling mogelijk overbodig wordt. De potentiële maatschappelijke baten hiervan zijn substantieel, zowel in Nederland als internationaal, tegen de achtergrond van een groeiend aantal mensen met één of meer chronische ziekten.
De overheid kan deze nieuwe ontwikkelingen stimuleren, bijvoorbeeld door het bevorderen van innovatie door het inzetten van stimulerende wet- en regelgeving of financieringsondersteuning. Niet alle bruikbare interventies worden immers optimaal doorontwikkeld en de betaalbaarheid, beschikbaarheid en duurzaamheid zijn niet altijd gegarandeerd. FAST is er daarom op gericht dat de nieuwe behandelingen optimaal beschikbaar komen en blijven voor iedereen, terwijl bedrijven worden gestimuleerd om te investeren in nieuwe ontwikkelingen.

Het **economische** potentieel van nieuwe therapieën is eveneens groot. De trend is dat grote farmabedrijven een deel van hun Research & Development (R&D) inkopen, bijvoorbeeld door samenwerkingen en/of overnames van (kleinere) innovatieve bedrijven. Dit gebeurt overigens ook in andere sectoren. Nederland is aantrekkelijk voor deze bedrijven en daardoor levert ons land een belangrijke bijdrage aan het translationele onderzoek dat nodig is om van een wetenschappelijke vinding een product te maken. Er bestaat al een goede wisselwerking tussen kennisinstellingen en innovatieve bedrijven, waaronder veel start-ups en innovatieve (bio)techbedrijven die vaak hun wortels hebben in het academisch onderzoek. Een sterke, verbeterde infrastructuur voor therapieontwikkeling trekt meer investeringen van bedrijven in Nederland aan. De komst van het EMA en de innovatiegolf bieden kansen voor verdere groei[1]. Om deze kansen optimaal te benutten, zijn sturing, afstemming en synergie nodig. Dit zijn dan ook sleutelbegrippen voor FAST.

Vanuit **wetenschappelijk** perspectief is het ontwikkelen van nieuwe behandelingen een fascinerende uitdaging, die vraagt om het leggen van nieuwe dwarsverbanden, voortbouwend op bestaande sterke onderzoeksclusters. Wetenschappers en technici kunnen hier mogelijkheden ontwikkelen die nu nog nauwelijks denkbaar zijn. Voor hun opleiding en carrièrekansen, maar ook voor de internationale positie van de Nederlandse wetenschap is een gerichte inspanning op het gebied van therapieontwikkeling een belangrijke stimulans. De academische wereld is daarom een van de pijlers van FAST.

Voor de maatschappij, de economie en de wetenschap kunnen activiteiten op het gebied van FAST een veel grotere impact hebben dan alleen het beoogde product. Door nieuwe behandelingen te ontwikkelen, wordt hoogwaardige zorg verbeterd en gaat er ook een impuls voor kwaliteitsverhoging vanuit. Maatregelen voor het versterken van bedrijvigheid rond nieuwe therapieën kunnen een positieve impact hebben op andere bedrijfstakken, zoals ondersteunende diensten, diagnostica, hulpmiddelen en andere (medische) technologieën. In de wetenschap ontstaan nieuwe multidisciplinaire samenwerkingsverbanden, ten dele over onze grenzen heen, waardoor ook verwante problemen worden aangepakt en de Nederlandse wetenschap en onze wetenschappers meer kansen krijgen om zich te ontwikkelen en te profileren.

Innovatiegolf

De manier waarop nieuwe therapieën ontwikkeld worden, is sterk aan het veranderen. Waar vroeger de nadruk lag op een sequentiële, fase-georiënteerde aanpak bij de ontwikkeling van geneesmiddelen (vaak eenvoudige moleculen), zijn nieuwe en toekomstige behandelingen van meet af aan veel complexer. Er wordt gebruikgemaakt van biologische productiemethoden, van verschillende vormen van genetische modificatie, stamcellen en van gecombineerde interventies (hulpmiddelen, geneesmiddelen en voedingsmiddelen tegelijk). Personalised medicine vraagt vaak om gerichte diagnostische ondersteuning (*companion diagnostics*). Regeneratieve technieken worden vaak gecombineerd met groeifactoren, cellen en biomaterialen. Ook de diagnostische ondersteuning van therapie en preventie is in beweging. Laagdrempelige beschikbaarheid van nieuwe diagnostica en screeningstechnologie, zoals *genome sequencing* of het inzetten van *organoids* (mini-orgaantjes uit stamcellen van de patiënt) kunnen de individuele behandeling meer op maat maken en de succeskansen verbeteren. Steeds meer curatieve of zelfs preventieve behandelingen kunnen zo de individuele patiënt bereiken, met potentieel grote winst in termen van volksgezondheid en verbeterde maatschappelijke participatie van patiënten. Voor het bedrijfsleven in Nederland bieden deze nieuwe ontwikkelingen unieke nieuwe kansen. De vroege, innovatieve ontwikkeling van deze interventies vindt veel plaats in kleinere (bio)techbedrijven en spin-offs waar Nederland rijk aan is.

Samenhang creëren

De ontwikkeling van nieuwe therapieën is kostbaar en kennisintensief, met een relatief grote kans op falen. Dit draagt bij aan de soms zeer hoge kosten van nieuwe behandelingen. Het is daarom van belang om het gehele proces te beheersen, om bijtijds te kunnen bijsturen en meer samenhang te creëren tussen de verschillende fasen (fundamenteel onderzoek, translationeel onderzoek, bedrijfsmatige ontwikkeling, klinische toetsing, evaluatie na markttoelating). Ook is

[1] https://www.rijksoverheid.nl/binaries/rijksoverheid/documenten/kamerstukken/2019/02/05/kamerbrief-over-versterken-topsector-life-sciences-health-door-komst-ema/kamerbrief-over-versterken-topsector-life-sciences-health-door-komst-ema.pdf

samenhang en cross-sectorale samenwerking nodig tussen verschillende disciplines en bedrijfstakken (bijvoorbeeld farma en medtech) om kansrijke ontwikkelingen daadwerkelijk bij de patiënt te brengen en eventuele risico's bijtijds in kaart te brengen en adequaat te adresseren. Meer dan voorheen worden ook patiënten(organisaties) actief betrokken bij het stellen van prioriteiten en het maken van ethische en praktische afwegingen. Beschikbaarheid van nieuwe producten voor de patiënt wordt ook bepaald door de prijsstelling en vergoeding. Een nieuwe aanpak van de ontwikkeling en marktintroductie kan ertoe bijdragen dat de prijs aanvaardbaar blijft en innovaties sneller beschikbaar komen voor de patiënt.[2]

Brede lange termijn visie

Therapieontwikkeling vindt met name plaats in de wisselwerking tussen onderzoekers en ondernemers, tussen bedrijven en academische groepen. Patiënten, behandelaars, verzekeraars en andere betrokkenen spelen op verschillende manieren een rol. Waar dit proces al optimaal verloopt, heeft FAST niets toe te voegen. Maar er zijn legio voorbeelden waar de beloften vanuit het innovatieve onderzoek nog niet ingelost zijn in de klinische praktijk. FAST kan hier helpen om barrières te identificeren en te helpen opruimen, te signaleren waar systemische problemen bestaan, kennis en expertise bij elkaar brengen en met gerichte investeringen strategische ontwikkelingen stimuleren. Respect voor de autonomie en belangen van alle betrokken partijen is daarbij van groot belang. Er is een lange termijn visie nodig, waar betrokken partijen hun eigen strategie op kunnen afstemmen. Kort samengevat is deze visie: FAST beoogt om innovatieve therapieontwikkeling te stimuleren, rekening houdend met betaalbaarheid, beschikbaarheid en duurzaamheid. Duurzaamheid betekent hier niet alleen dat verstandig wordt omgegaan met beschikbare hulpbronnen, maar ook dat beleid consistent en op de langere termijn gericht is.

FAST

Om bestaande initiatieven te verbinden en meer samenhang te creëren in het gehele proces van therapieontwikkeling bepleiten we de vorming van FAST als nationaal platform voor therapieontwikkeling. Het is de bedoeling dat FAST het gehele proces van therapieontwikkeling kan overzien, weet welke onderzoeksgroepen en bedrijven welke mogelijkheden hebben, actief kan bijdragen aan het ontwikkelen van infrastructuur en onderwijs (*human capital*) en vanuit een heldere, breed gedragen strategie kan bijdragen aan een samenhangend programma van R&D-activiteiten. FAST is het aanspreekpunt voor onderzoekers, bedrijven, behandelaars en patiënten. Het kan alle betrokkenen snel en laagdrempelig van actuele informatie voorzien, rechtstreeks of als kennismakelaar. Dat geldt bijvoorbeeld voor vragen op het gebied van regelgeving en financiering, maar ook methodologische/technologische vragen en infrastructurele kwesties. Een deel van deze vragen kan laagdrempelig worden beantwoord. Bij andere vragen zijn onderlinge werkafspraken, uitbesteding of doorverwijzing nodig. Voor gerichte stimulering van gewenste ontwikkelingen beschikt FAST over de middelen om projecten of consortia te financieren. Hoe er concreet over het FAST platform gedacht wordt, wordt verder uitgewerkt in het hoofdstuk over financiering en organisatie. Hoe dit platform het beste kan worden opgezet en ingebed, is in deze fase van de plannen nog onbepaald.

FAST houdt overzicht over Nederlandse activiteiten op het gebied van therapieontwikkeling, zodat nodeloze doublures worden vermeden. FAST zal er bovendien toe bijdragen dat nieuwe opdrachten vanuit de overheid om additionele (onderzoeks)gelden uit te zetten, specifieke zaken te stimuleren of versnellen, snel worden vertaald in concrete acties, met zo min mogelijk doublures. Waar mogelijk zal FAST aansluiting zoeken bij bestaande programma's, zo nodig worden nieuwe programma's in het leven geroepen. Als nationaal ontwikkelingsplatform kan FAST de interactie tussen het veld en de overheid (alle betrokken departementen zoals VWS, EZK en OCW) kanaliseren. Signalen uit het veld kunnen zo snel op de agenda's van de betrokken ministeries terechtkomen en omgekeerd. Als ergens spanningsvelden of belemmeringen zouden ontstaan, kan bijtijds overleg plaatsvinden om deze problemen op te lossen.

[2] Zie ook Kamerbrief over NFU-rapport over Maatschappelijk Verantwoord Licentiëren, 29 mei 2019

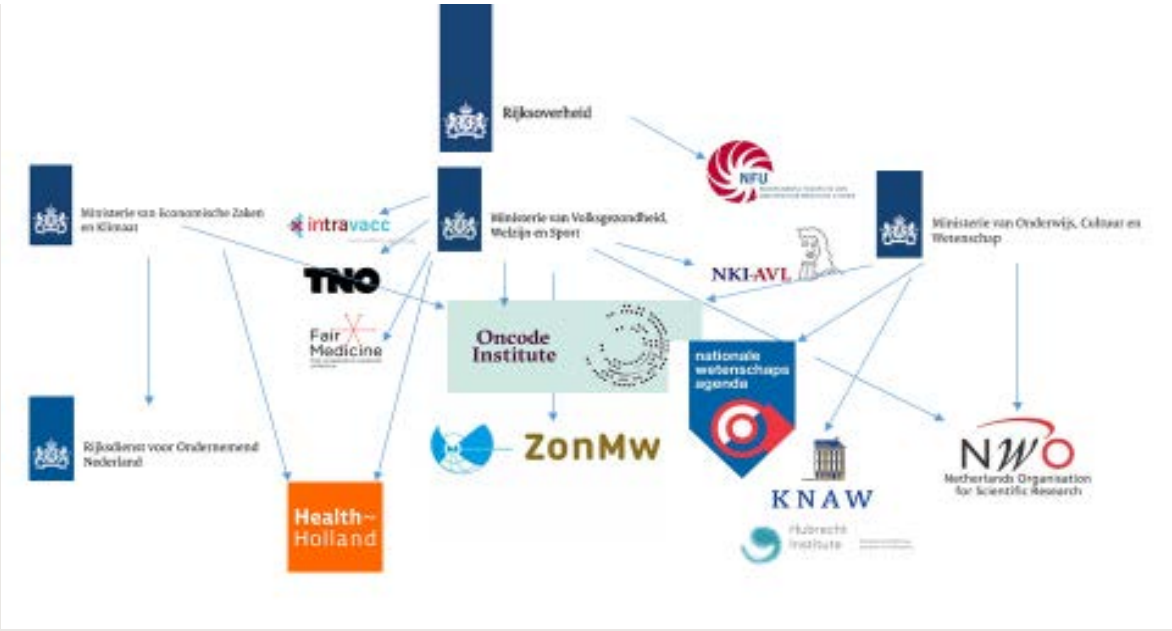

Fig. 1 Enkele belangrijke initiatieven en financieringsstromen – voor een vollediger overzicht zie https://www.rijksoverheid.nl/documenten/kamerstukken/2018/10/08/overzicht-van-collectieve-middelen-in-verband-met-medicijnontwikkeling

Huidige situatie

Therapieontwikkeling wordt nu ook al op verschillende terreinen vanuit de overheid gestimuleerd. Om te beginnen verrichten umc's, universiteiten, hogescholen en andere kennisinstellingen (NKI-AvL, TNO, RIVM, etc.) onderzoek dat indirect of rechtstreeks bijdraagt aan de ontwikkeling van nieuwe therapieën. Dit onderzoek wordt voor een deel direct gefinancierd vanuit de overheid (eerste geldstroom) en indirect via de tweede geldstroom (ZonMw, NWO) en de KNAW. Samenwerking tussen wetenschap, bedrijfsleven en gezondheidsfondsen op het gebied van therapieontwikkeling wordt vanuit de overheid gestimuleerd via ZonMw, NWO en de topsector LSH (Health~Holland) als onderdeel van het missiegedreven innovatiebeleid. Bedrijvigheid op het gebied van therapieontwikkeling wordt vanuit de overheid gestimuleerd via de Rijksdienst voor Ondernemend Nederland, RVO (fiscale en verschillende regelingen, risicodragende financieringen) en ook regionale ontwikkelingsmaatschappijen stellen middelen ter beschikking.

In de loop der jaren zijn daarnaast verschillende initiatieven tot stand gekomen die therapieontwikkeling op een specifiek onderwerp (bijvoorbeeld oncologie) als een van hun doelen hebben (bijvoorbeeld Oncode Institute, Intravacc), die zich richten op specifieke vraagstukken (bijvoorbeeld het stimuleren van de ontwikkeling van nieuwe antibiotica, Translationeel Adult Stamcel onderzoek) of een alternatief businessmodel ontwikkelen (bijvoorbeeld Fair Medicine). Ook op het gebied van personalised medicine en regeneratieve geneeskunde (allebei belangrijke routes in de Nationale Wetenschapsagenda) zijn initiatieven ontstaan. Mede op initiatief van de koepels van kennisinstellingen (NFU, VSNU) bestaat er een steeds sterkere infrastructuur op het gebied van data-uitwisseling (Health-RI), klinische studies (EATRIS), kennistransfer en maatschappelijk verantwoord licentiëren (overleg KTO's).

In dit geheel van initiatieven is winst te boeken door het aanbrengen van meer samenhang en synergie. Zoals verderop in dit document beschreven wordt, zijn er al terreinen waarop Nederland een vooraanstaande rol kan en wil spelen, bijvoorbeeld rond personalised medicine, regeneratieve geneeskunde en de behandeling van zeldzame aandoeningen. Onderzocht zou moeten worden wat er precies nodig is om de hoogwaardige kennis op dit terrein te vertalen naar de kliniek en vervolgens naar de markt, welke knelpunten uit de weg geruimd moeten worden en hoe gewenste ontwikkelingen het beste gestimuleerd kunnen worden. Om gebruik te maken van de bestaande mogelijkheden is het belangrijk om te inventariseren welke sturingsmogelijkheden er nu zijn en hoe nieuwe initiatieven, nieuwe methodologieën en technologieën en nieuwe doelstellingen vanuit de overheid optimaal geïmplementeerd kunnen worden. De innovaties van morgen sluiten immers soms slecht aan bij de regelgeving en het vergoedingssysteem van vandaag.

Synergie

Vanuit de overheid gezien omvat therapieontwikkeling activiteiten op de terreinen van drie departementen: VWS, OCW en EZK. Om de synergie tussen alle betrokken actoren te bevorderen, is het cruciaal om op hoofdlijnen inhoudelijk (en mogelijk ook financieel) ondersteuning te bieden, met name door overleg met en advisering van betrokken actoren. FAST omvat drie samenhangende programmalijnen, die in dit plan nader worden uitgewerkt:

1. Versterken van infrastructuren en onderwijs. Het gaat hier om het faciliteren van de gewenste ontwikkelingen en het versterken van bestaande ecosystemen, in lijn met de inventarisatie ad 3 en de R&D-programma's ad 2, aangevuld met wetenschappelijk onderzoek op het gebied van regelgeving en markttoelating en onderzoek naar de inzet van alternatieve bedrijfs- en financieringsvormen.
2. Het stimuleren van R&D-programma's die bijdragen aan therapieontwikkeling, zoals bijvoorbeeld op het terrein van regeneratieve geneeskunde, personalised medicine en weesgeneesmiddelen. Door op maat in te zetten op deze programma's kan een internationaal vooraanstaande positie in therapieontwikkeling worden verworven.
3. Strategische verkenning en inventarisatie van bestaande academische, translationele en economische activiteiten. Daarbij wordt enerzijds in kaart gebracht wat er momenteel concreet in Nederland gebeurt, anderzijds een inschatting gemaakt van het potentieel voor de komende 5-10 jaar en daarna. Deze analyse moet uitmonden in meer strategische acquisitie van LSH-bedrijvigheid. Strategische acquisitie wordt momenteel al opgepakt in het actieprogramma 'Nieuwe kansen voor topsector Life Sciences & Health' door het NFIA Invest in Holland LSH-team; in het kader van FAST wordt aansluiting gezocht met deze en overige programmalijnen.

Voor een belangrijk deel gaat het bij FAST om het uitwerken en versterken van ontwikkelingen die al gaande zijn, maar waarbij coördinatie en een gerichte, strategische stimulans nodig zijn om het volle potentieel van Nederland te verzilveren. Het bidboek van PharmInvestHolland[3] bijvoorbeeld geeft al een goede globale indruk van de huidige economische activiteiten. Verschillende organisaties werken aan het opbouwen en versterken van infrastructuren en aan het opzetten van vernieuwend onderwijs op het gebied van therapieontwikkeling, onder meer in het kader van de Human Capital Agenda van Health~Holland. Het academische fundament onder de R&D-programma's is al van hoge kwaliteit en mede dankzij de NWA is ook de gewenste onderlinge afstemming al een eind op gang gekomen. Dat blijkt bijvoorbeeld uit de goed onderbouwde voorstellen voor de routes Regeneratieve Geneeskunde en Personalised Medicine[4].

Tegelijkertijd moet worden geconstateerd dat therapieontwikkeling plaatsvindt in een sterke internationale competitie. Nu wij hier constateren dat de tijd rijp is, is deze conclusie in Azië en Noord-Amerika ook al getrokken. Enige voortvarendheid is dan ook geboden, om de vruchten van onze inspanningen tot dusver te kunnen plukken en de positie van Nederland binnen Europa en in het grotere mondiale geheel te versterken en consolideren. Als we FAST tot een succes willen maken, moeten we snel zijn.

[3] https://pharminvestholland.nl/
[4] https://wetenschapsagenda.nl/route/personalised-medicine-uitgaan-van-het-individu/ en https://wetenschapsagenda.nl/route/regeneratieve-geneeskunde-game-changer-op-weg-naar-brede-toepassing/

Leeswijzer: programmalijnen

In de volgende hoofdstukken wordt geschetst hoe FAST in de komende vijf tot tien jaar Nederland internationaal sterker op de kaart kan zetten als innovatieve regio op het gebied van therapieontwikkeling, met oog voor beschikbaarheid, betaalbaarheid en duurzaamheid. Dat gebeurt binnen drie programmalijnen:

1. **Versterken infrastructuur en onderwijs**
2. **R&D-activiteiten op strategische speerpunten**
3. **Inventarisatie bestaande initiatieven en huidige situatie**

Deze lijnen worden hieronder kort geschetst en hun onderlinge samenhang wordt duidelijk gemaakt, waarna het geheel in een internationaal perspectief wordt geplaatst. Ten slotte worden de financiële randvoorwaarden geschetst. Het laatste hoofdstuk benoemt de belangrijkste conclusies.

Programmalijn 1: Versterken infrastructuren en onderwijs

Om nieuwe therapieën te ontwikkelen en naar de markt te brengen, zijn infrastructuur en goed opgeleide professionals belangrijke randvoorwaarden. Welke infrastructuur en welk type professionals (human capital) nodig zijn, hangt uiteraard af van de gekozen speerpunten. FAST kan bijdragen aan een optimale inzet van mensen en middelen, door deze inzet goed te integreren en versnippering te voorkomen. Daarbij is inventarisatie en adresseren van knelpunten essentieel. Onderzoek op het gebied van regelgeving draagt bij aan het tijdig signaleren van huidige en toekomstige knelpunten en het vinden van oplossingen. Daarnaast is er ruimte nodig voor experimenten met alternatieve ontwikkelings- en financieringsmodellen.

1. Onderwijs en infrastructuur therapieontwikkeling

Nederlandse biomedische en farmaceutische onderzoekers zouden in hun opleiding en nascholing meer praktijkgerichte kennis moeten krijgen over therapieontwikkeling en de vertaalslag van wetenschappelijke resultaten naar praktische toepassingen. FAST sluit op dit gebied aan bij de Human Capital Agenda van de topsector en de relevante ontwikkelingen rondom de komst van het EMA. Voor startende en kleinere bedrijven, maar ook voor ondernemende academici kan het aanvankelijk soms lastig zijn om aansluiting te vinden bij gewenste infrastructuur of om de juiste kennis op het goede moment beschikbaar te hebben. FAST zal hier als makelaar/matchmaker optreden. Daardoor kan een bedrijf zich richten op zijn core business en gaat geen tijd verloren met het opnieuw uitvinden van het wiel. Een laagdrempelig benaderbaar en actief ondersteunend bureau is hiervoor noodzakelijk. De organisatie zelf kan relatief klein blijven, door gebruik te maken van een *coalition of the willing*: een netwerk van gevestigde experts op deelgebieden die de hier geschetste visie op therapieontwikkeling delen en die in een fluïde, informele setting bereid zijn hun expertise in te zetten. In aansluiting op de analyses uit programmalijn 3 en de strategische keuzes in programmalijn 2 kan gericht geïnvesteerd worden in *incubators* dan wel *incubatorprogramma's,* in zekere zin vergelijkbaar met het voormalige BIOpartner programma. Deze zullen dan moeten aansluiten bij de lokale sterktes en strategische keuzes. Ook de scouting door valorisatie officers, een succesvolle formule uit het BIOpartner programma, kan binnen FAST een plek krijgen, in samenwerking met de KTO's.

Doelen:

- *Meer en beter opgeleide professionals in therapieontwikkeling*
- *Laagdrempelige ontsluiting van de beschikbare Nederlandse infrastructuur voor therapieontwikkeling*
- *Voldoende en adequate faciliteiten voor startende ondernemers betrokken bij therapieontwikkeling*

2. Knelpunten en blokkades

Om therapieontwikkeling in Nederland op het hoogst mogelijk niveau te krijgen zullen we kritisch moeten zijn op mogelijke knelpunten en blokkades die dit proces bemoeilijken. Zo zullen we indien nodig knellende wet- en regelgeving moeten herzien. Te denken valt aan het recent wederom geagendeerde[5] probleem rondom Nederlandse interpretatie van Europese regelgeving en eigen milieuwetgeving rondom werken met genetisch gemodificeerde organismes. Ook moet er met betrokkenen een slag worden gemaakt op het efficiënter doen van (multi-center) onderzoek. Als we Nederland in de topgroep willen brengen op sommige therapieontwikkelingsgebieden zullen we de benodigde infrastructuren voor het snel en efficiënt uitvoeren van de benodigde (klinische) studies op orde moeten brengen voor zowel bedrijfsleven als academie. FAST zal op deze gebieden als initiator en katalysator optreden.

Doelen:

- *Stimuleren van een efficiënter ingericht proces van therapieontwikkeling in Nederland*

[5] https://www.tweedekamer.nl/kamerstukken/stemmingsuitslagen/detail?id=2019P12172 en FD 17 dec 2018: https://fd.nl/opinie/1282432/gentherapie-verdient-moderne-regels

3. Regulatoire wetenschap

Het uiteindelijke doel van therapieontwikkeling is in de meeste gevallen een geregistreerd product, dat toegelaten is tot de markt en vergoed wordt door de zorgverzekeraar zodat het beschikbaar is voor wie het nodig heeft. Landelijke, Europese en internationale regelgeving zijn erop gericht om de veiligheid en effectiviteit van geregistreerde producten zo goed mogelijk te garanderen. Vervolgens moet aan landelijke regels worden voldaan voordat het product ook voor vergoeding in aanmerking komt.
Vanuit het perspectief van de ontwikkelaar en in toenemende mate ook van de patiënt vormen deze regels even zovelen horden die genomen moeten worden op weg naar het uiteindelijke doel. Voor de patiënt kan het moeilijk te verteren zijn als een mogelijke behandeling er wel is, maar niet beschikbaar is in Nederland of niet vergoed wordt. Registratie blijft een belangrijk uitgangspunt maar onnodige potentiële barrières zouden moeten worden geslecht. Een kritische analyse van bestaande en toekomstige regels en van het proces van toetsing blijft daarom belangrijk. Dat geldt met name ook voor nieuwe en complexere therapievormen, zoals ATMP's en de combinatie van geneesmiddelen, *devices* en/of *companion diagnostics*. Voorzichtigheid en aandacht voor de veiligheid van patiënt en milieu moeten daarbij in balans blijven met de potentiële voordelen voor patiënt en samenleving.
FAST wil onderzoek en ontwikkelingen op dit terrein stimuleren, niet alleen op het gebied van registratie en markttoelating, maar ook op het gebied van (onderzoek naar) vergoedingsmogelijkheden en toegankelijkheidsproblematiek. Net als bij de eerdergenoemde punten zal er gezocht worden naar experimenteerruimte, om kennis en ervaring op te doen met individuele cases en oplossingen te vinden die zowel binnen Nederland als internationaal toepasbaar zijn. Met het EMA in ons land zullen ook de lijnen naar die internationale regelgeving korter worden.

Doelen:

- *Onderzoek en ontwikkeling stimuleren naar de optimale route tot registratie, vergoeding en beschikbaarheid van toekomstige therapieën.*

4. Alternatieve ontwikkelings- en financieringsmodellen

Veel succesvolle nieuwe therapieën zijn ontwikkeld binnen bestaande bedrijven of in start-ups. Toch is op het totaal de slaagkans van nieuwe therapieën niet groot, met name de vroege fase van therapieontwikkeling is vaak zeer onzeker. Dit betekent dat veel risicokapitaal nodig is en de kosten van nieuwe behandelingen worden opgedreven[6]. Onderzocht moet worden of alternatieve ontwikkelingsmodellen de slaagkans kunnen vergroten, bijvoorbeeld door beter gebruik te maken van de kennis die op een gegeven moment al beschikbaar is. Ook dit vraagt om experimenteerruimte en een centrale ondersteuning met brede expertise op het gebied van therapieontwikkeling, financiering en bedrijfsvoering. FAST kan experts op deze terreinen gemakkelijk bijeen brengen en zo kansrijke nieuwe vormen ontwikkelen die zich in de praktijk kunnen bewijzen. Door de sterkte-zwakte analyse uit programmalijn 3 en de strategische keuzes die daaruit voortvloeien, zal ook duidelijker worden op welke gebieden we in Nederland alternatieve ontwikkelingsmodellen willen ontwikkelen.
Alternatieve businessmodellen kunnen ook worden ingezet waar de markt er niet in slaagt om tegemoet te komen aan de essentiële behoeften van patiënten, bijvoorbeeld door magistrale bereiding of door het gericht stimuleren van de productie en marketing van generieke weesgeneesmiddelen.

Doelen:

- *Alternatieve business- en financieringsmodellen onderzoeken, stimuleren en inzetten voor de ontwikkeling van toekomstige therapieën op geselecteerde gebieden.*

[6] https://gupta-strategists.nl/storage/files/The-cost-of-opportunity-Gupta-Strategists.pdf

Doorontwikkeling

Aan de hand van de inventarisaties uit programmalijn 3 en de strategische keuzes binnen programmalijn 2 zal voortdurend moeten worden bepaald welke randvoorwaarden verder versterkt moeten worden. Daarbij moet (nogmaals, afhankelijk van de gekozen strategie en actualiteit) specifiek worden gekeken naar infrastructuren op het gebied van bijvoorbeeld:

a) innovatief onderzoek: proefdierfaciliteiten, faciliteiten voor de diverse -omics, beeldvormende technieken, sleutel technologieën, technology hotels[7], FAIR dataopslag en -uitwisseling, proefdiervrije innovaties etc.
b) translationeel onderzoek: GMP-faciliteiten, research hotels, productiefaciliteiten ATMPs etc..
c) ondersteuning van startende bedrijven: incubators, advisering en ondersteuning, financierings- en kredietmogelijkheden, etc.
d) klinische studies: datamanagement, FAIR dataopslag en -uitwisseling, etc.
e) lange termijn evaluatie: FAIR dataopslag en -uitwisseling zorgdata.

Een belangrijk onderdeel van de infrastructuur is ook de beschikbaarheid en het inzetten van praktisch toepasbare kennis op uiteenlopende terreinen: FAIR data, regelgeving, ethiek, subsidiemogelijkheden, internationale aspecten, et cetera. FAST kan hier zelf een sleutelrol vervullen als vraagbaak en kennismakelaar, in nauwe samenwerking met diverse bestaande organisaties, zoals DTL, EATRIS, Health-RI, Health~Holland, Oncode Institute en de science parken. Om de samenhang te vergroten kan FAST een rol krijgen bij het financieren van sommige grote infrastructurele investeringen.

[7] https://www.dtls.nl/technology-hotels/list/

Programmalijn 2: Speerpunten voor onderzoek en ontwikkeling

Om in de internationale competitie een rol van betekenis te spelen, zal Nederland zich op een aantal centrale thema's moeten concentreren. Op andere gebieden kunnen Nederlandse onderzoekers en bedrijven uiteraard ook een rol spelen, al dan niet in consortia met buitenlandse collega's, maar voor de noodzakelijke focus en massa richt FAST zich op de ondersteuning van enkele centrale thema's. Daarbij zullen ook actuele ontwikkelingen en politieke keuzes sturend zijn. Bijvoorbeeld de missies van VWS, waarin een duidelijke keuze wordt gemaakt voor het terugdringen van chronische aandoeningen en de gevolgen van dementie.
De hieronder genoemde speerpunten volgen logisch uit reeds ingezette initiatieven, zoals de NWA-routes die hun oorsprong hebben in een brede maatschappelijke verkenning. Er zijn nog vele andere speerpunten op het gebied van therapieontwikkeling denkbaar. Zodra er een duidelijke vorm gekozen is voor FAST, zou een eerste belangrijke stap zijn om met patiënten, behandelaars en andere stakeholders het gesprek aan te gaan welke (andere) strategische prioriteiten worden gekozen. De input uit programmalijn 3 kan deze strategische keuzes ondersteunen en bijstellen. Concreet zal FAST op deze speerpunten enerzijds coördineren en faciliteren (onder meer in het verlengde van programmalijn 1), anderzijds gericht projecten en consortia financieren die in de huidige programma's onvoldoende aan bod komen. Ook zal FAST op deze terreinen aanspreekpunt zijn voor onderzoekers uit academie en bedrijfsleven en voor de betrokken overheidsinstanties. Zo worden doublures voorkomen en wordt coherentie in beleid en uitvoering bevorderd.

Speerpunten

FAST wil onderzoek en ontwikkeling (R&D) stimuleren op de volgende speerpunten:

1. Regeneratieve geneeskunde;
2. Personalised medicine;
3. Weesgeneesmiddelen.

De eerste twee speerpunten zijn ook al geformuleerd als NWA-routes. Mede dankzij de inspanningen rond de NWA is er in deze velden al de nodige coherentie aan het ontstaan, met name binnen de academische centra. Het zal interessant zijn om in de derde FAST programmalijn te inventariseren welke ontwikkelingen binnen deze brede thema's in de komende 5-10 jaar doorontwikkeld kunnen worden in de richting van klinische toepassing en de markt. Die inventarisatie kan leiden tot een bijstelling van de visie wat de meest kansrijke ontwikkelingen zijn, waar de meeste behoefte aan bestaat en wat de belangrijkste knelpunten zijn.

1. Regeneratieve geneeskunde

Dit relatief nieuwe vakgebied bouwt voort op de kennis die in de afgelopen decennia al is opgebouwd op het gebied van transplantaties, biomaterialen, stamcellen, gentherapie, weefselbescherming en
-herstel. Uiteindelijk houdt regeneratieve geneeskunde de belofte in van genezing van chronische en genetische aandoeningen, door herstel van aangetaste genen, weefsels en organen. Nederlands onderzoek in de regeneratieve geneeskunde loopt op een aantal terreinen voorop. Initiatieven als RegMed XB[8] gaan de uitdaging aan om een of meer concrete toepassingen in de komende jaren naar de kliniek te brengen. Het betreft hier niet alleen een technologische uitdaging – er zal ook gezocht moeten worden naar de optimale vorm om regeneratieve geneeskunde voor grote groepen mensen toegankelijk te maken. Voor sommige toepassingen zal een bedrijfsmatige aanpak de meest geschikte zijn, bij andere is te overwegen de behandeling binnen een zorginstelling uit te voeren, vergelijkbaar met een beenmergtransplantatie. Dit is bij uitstek een terrein waar experimenten uitkomst kunnen bieden, waarbij FAST de opzet en regulatoire inbedding kan faciliteren en kan zorgen dat er lessen getrokken worden uit de successen en mislukkingen.

[8] https://www.regmedxb.com

Nauw samenhangend met de regeneratieve geneeskunde, en onderdeel van dezelfde NWA-route, is ontwikkeling van zogeheten organoids en organs-on-a-chip. Het gaat in beide gevallen om driedimensionale structuren die gekweekt worden uit stamcellen. Vaak wordt gebruikgemaakt van

stamcellen die afkomstig zijn van lichaamsmateriaal van een patiënt met een bepaalde ziekte (iPS, induced Pluripotent Stem cells) om een humaan modelsysteem te ontwikkelen van die ziekte. Organoids kunnen gebruikt worden om in het individuele geval de gevoeligheid voor een bepaald geneesmiddel te bepalen (zie ook hieronder), maar ook om nieuwe geneesmiddelen te ontwikkelen.

Organs-on-a-chip zijn een volgende stap: een combinatie van een organoid met geavanceerde meetapparatuur om de functies van cellen te analyseren. Deze kunnen zowel gebruikt worden voor het verkrijgen van meer inzicht in ziektemechanismen (en dus potentiële doelwitten voor geneesmiddelen) als voor het testen van kandidaat-geneesmiddelen op effectiviteit. Een belangrijk voordeel van deze humane systemen is dat geen gebruik gemaakt wordt van proefdieren. De resultaten zijn daardoor vaak beter toepasbaar bij menselijke patiënten. Bovendien kan deze aanpak bijdragen aan de gewenste reductie van het aantal dierproeven. Nederland loopt wereldwijd voorop in de ontwikkeling van organoids, organs-on-a-chip en vergelijkbare modelsystemen voor embryo's.
FAST wil doorpakken op de inzet en ervaringen tot nu toe, gebruikmakend van de aanwezige kennis rondom de mogelijkheden, beloftes maar ook knelpunten en belemmeringen in de ontwikkeling van ATMPs en aanpalende technologie. Hierbij wordt ingezet op financiering van onderzoek en ontwikkeling van veelbelovende behandelingen, aanpakken van mogelijke knelpunten en optimaliseren van de benodigde infrastructuur om deze behandelingen voor de patiënt mogelijk te maken en ook in de toekomst beschikbaar te houden.

Doelen:

- *Onderzoek en ontwikkeling stimuleren van veelbelovende ATMPs en aanpalende technologie*
- *Optimaliseren van benodigde infrastructuur om ATMPs te ontwikkelen en beschikbaar te maken*

2. Personalised medicine

Bij personalised (of; precision) medicine gaat het niet zozeer om het ontwikkelen van nieuwe therapieën, maar om de optimale inzet van behandelingen dankzij gerichtere diagnostiek. Geneesmiddelen en andere therapieën zijn nu afgestemd op de gemiddelde patiënt. Daardoor zijn zij niet bij alle patiënten even effectief en is niet goed te voorspellen welke patiënt last zal hebben van (ernstige) ongewenste bijwerkingen. Personalised medicine is erop gericht om aan de hand van genetica, klinische diagnostiek en andere data te voorspellen welke individuele patiënt baat zal hebben bij welke aanpak van zijn of haar ziekte, waarbij ook de kans op bijwerkingen geminimaliseerd wordt. Daarbij wordt naast reguliere diagnostiek vaak gebruikgemaakt van nieuwe diagnostische mogelijkheden, zoals de toepassing van organoids en *next generation sequencing*. In bredere zin betekent personalised medicine ook geïndividualiseerde preventie.
Voortschrijdende wetenschappelijke inzichten maken steeds meer precisie mogelijk in het voorspellen van de gewenste en ongewenste uitkomsten van een behandeling. Om personalised medicine te realiseren, is een analyse nodig van grote verzamelingen klinische data, in combinatie met genetische en andere gegevens. In de afgelopen jaren is bijvoorbeeld steeds duidelijker geworden dat het geheel van bacteriën dat wij bij ons dragen, het microbioom, grote invloed heeft op onze gezondheid, ons afweersysteem en op de werking van geneesmiddelen. Nederland speelt een belangrijke rol in het wetenschappelijk onderzoek naar de invloed van het microbioom. Dit biedt kansen voor therapieontwikkeling op dit terrein in de toekomst.
De onder programmalijn 1 genoemde infrastructuren zijn een onmisbare randvoorwaarde bij het verzamelen van betrouwbare FAIR data en materialen en de analyse ervan in het kader van personalised medicine. Uiteindelijk zullen in veel gevallen ondersteunende diagnostische tests (*companion diagnostics*) ontwikkeld moeten worden. Ook hier geldt dat nu nog niet goed te

overzien is welke gevolgen deze innovatie zal hebben voor de klinische praktijk, voor de vergoeding van geneesmiddelen en de kosten van de zorg. FAST kan door experimenten meer duidelijkheid bewerkstelligen over deze aspecten, waardoor de winst voor de patiënt geoptimaliseerd kan worden, tegen aanvaardbare maatschappelijke kosten en met voldoende incentives voor verdere innovatie. Idealiter wordt al voorafgaand aan de registratie van een nieuw middel gekeken naar mogelijkheden voor geïndividualiseerde therapie. Nederland zou op dat punt een pioniersrol kunnen vervullen.

Nu vindt aanvullend onderzoek vaak pas na marktintroductie plaats, bijvoorbeeld binnen het programma Goed Gebruik Geneesmiddelen van ZonMw.

Doelen:

- *Onderzoek en ontwikkeling stimuleren naar betere behandeling op maat voorafgaand aan marktintroductie*

3. Weesgeneesmiddelen

Zeldzame ziekten komen het meest voor – dat wil zeggen dat als iemand een ziekte heeft, dit meestal een zeldzame ziekte is. Dat gegeven wordt alleen maar sterker doordat onze ziektecategorieën verfijnder worden. Bijvoorbeeld bij kanker worden steeds meer subtypen onderscheiden, waardoor veel van deze subtypen een prevalentie hebben van minder dan 5 per 10.000, de ondergrens voor een *orphan designation*. Met de opkomst van personalised medicine zal het aantal weesziekten verder toenemen. Dankzij de incentives op dit gebied zijn de afgelopen jaren nieuwe weesgeneesmiddelen op de markt gekomen, waarvan ongeveer 40% voor zeldzame kankers. De keerzijde is echter dat veel van deze middelen duur zijn en dat ook na verlopen van het octrooi de prijs niet daalt, omdat er geen concurrentie ontstaat (geen generieke preparaten of *biosimilars*).
Nederland heeft een goede uitgangspositie om op dit terrein een pioniersrol te vervullen. Nederlandse behandelaars en onderzoekers behoren tot de wereldtop op het gebied van zeldzame aandoeningen.

Er wordt in ons land veel onderzoek gedaan naar ziektemechanismen op basis van nieuwe modellen en (moleculaire) diagnostiek. ZonMw heeft in het afgelopen decennium translationeel onderzoek op dit gebied krachtig ondersteund. Binnen deze context moet het mogelijk zijn om met beperkte investeringen verschil te maken, op zijn minst voor een aantal zeldzame aandoeningen. Door gebruik te maken van beschikbare mogelijkheden kunnen oplossingen worden gegenereerd voor sommige beschikbaarheidsproblemen. Ook kan in sommige gevallen worden voorkomen dat beschikbare eenvoudige, maar voor de patiënt cruciale behandelingen tegen maatschappelijk onaanvaardbare prijzen als weesgeneesmiddel worden ‘doorontwikkeld’. Zulke oplossingen, waar ook alternatieve ontwikkelingsmodellen een rol in kunnen spelen, zullen een exemplarische en signalerende functie hebben. Zowel binnen Nederland als internationaal willen we met relatief geringe investeringen werken aan een beter functionerende weesgeneesmiddelenmarkt, met een duidelijke plaats voor generieke preparaten en *biosimilars*.

Dit speerpunt vraagt om het verder uitbouwen van onze nationale kennis en kunde op het gebied van zeldzame aandoeningen. De benodigde infrastructuur betreft hier de expertisecentra en registraties van zoveel mogelijk patiënten met een specifieke zeldzame aandoening, waarin zowel het natuurlijk beloop als de impact van eventuele interventies kan worden vastgelegd. Ook kan er onderzoek nodig zijn naar het regulatoire kader en de mogelijke effecten van verschillen in aanpak rondom ontwikkeling en beschikbaarheid van weesgeneesmiddelen. Aangezien veel van deze randvoorwaarden al aanwezig zijn, is Nederland ideaal gepositioneerd om op dit terrein een vooraanstaande positie te verwerven.

Doelen:

- *Pioniersrol creëren voor onderzoek, ontwikkeling en beschikbaar maken van weesgeneesmiddelen*

Inventarisatie en evaluatie

De hierboven genoemde speerpunten sluiten goed aan bij de huidige sterke punten van Nederland. De eerste twee zijn niet voor niets gekozen tot NWA-routes. De speerpunten sluiten aan bij de levendige en actuele discussies over zorgkosten, maar ook bij de Nederlandse cultuur, waarin snel overleg op hoog niveau mogelijk is tussen uiteenlopende spelers. Voor de komende 5-10 jaar zullen deze speerpunten dan ook actueel zijn, waarbij in de loop van de tijd duidelijkere accenten gelegd kunnen worden. Daarnaast zal (mede in het kader van de andere twee programmalijnen) regelmatig geïnventariseerd worden hoe het brede veld van therapieontwikkeling in Nederland ervoor staat en waar eventueel extra ondersteuning vanuit FAST mogelijk en gewenst is. Ook is het, zoals eerder vermeld, goed mogelijk dat uit de inventarisatie in programmalijn 3 nieuwe speerpunten voortkomen of de hier genoemde speerpunten nuancering en/of bijstelling behoeven.

Programmalijn 3: Strategische verkenning van huidige ontwikkelingen en toekomstige kansen

Een belangrijke stap op weg naar een samenhangend beleid op het gebied van therapieontwikkeling is de inventarisatie van de huidige situatie en het innovatieve potentieel in de gehele keten van innovatief onderzoek tot en met toepassing op de markt. Ook hier geldt dat de meerwaarde van FAST berust op het aanbrengen van samenhang en het signaleren van kansen. Deze programmalijn wordt grotendeels ingevuld door het reeds in gang gezette actieprogramma 'Nieuwe kansen voor topsector Life Sciences & Health', waarbij dit vanuit FAST wordt aangevuld met een analyse van de academische inspanningen op het gebied van therapieontwikkeling. In het kader van FAST vormt het de evaluatie van de strategische keuzes op het gebied van infrastructuur (programmalijn 1) en speerpunten op het gebied van onderzoek en ontwikkeling (programmalijn 2).

Rondgang langs de velden

In het kader van deze programmalijn wordt in nauwe samenhang met het actieprogramma een rondgang gemaakt langs verschillende partijen in Nederland:

- bedrijven in de farma- en biotechsector, de medtechsector, contractresearchorganisaties en andere ondersteunende bedrijven;
- kennistransferorganisaties;
- umc's en andere kennisinstellingen;
- patiëntenorganisaties (gericht op hun behoeften en prioriteiten, maar ook vanuit het innovatieve potentieel van sommige patiëntenorganisaties);
- andere organisaties die een sterk belang hebben bij de ontwikkeling van toegankelijke en duurzame therapieën (Fair Medicine, WOTRO, etc.).

Voor het actieprogramma wordt in getallen de huidige situatie in kaart te gebracht (nulmeting) op het gebied van bedrijvigheid, onderzoek en onderlinge samenwerking. Daarnaast is het van belang ook een kwalitatief beeld te krijgen van de wisselwerking tussen academie en bedrijfsleven, compleet met een analyse van sterktes, zwakheden, kansen en bedreigingen (SWOT). Welke bedrijven hebben rechtstreekse banden met (welke) onderzoekers? Welke onderzoekers zoeken toegang tot markttoepassingen? Hoe gaan kennisinstellingen om met octrooien en licenties? Hoe ziet, op een afstand bekeken, de gehele keten eruit? Waar is Nederland nu sterk in, wat zijn de zwakste schakels in de keten, wat is er nodig om de gehele keten beter te laten functioneren?

Onderdeel van deze inventarisatie zou ook de huidige wet- en regelgeving moeten zijn. Waar ervaart men knelpunten, wat is de invloed van regelgeving op het preklinische, translationele en klinische onderzoek en hoe ervaart men de procedures rond markttoelating en vergoeding?

Deze rondgang langs de velden zou idealiter op twee niveaus moeten plaatsvinden: enerzijds op het niveau van koepelorganisaties (VIG, HollandBio, NFU, etc.) en landelijke organisaties zoals NFIA, anderzijds ook op het niveau van scienceparken, individuele bedrijven, patiëntenorganisaties en onderzoeksgroepen. Dat biedt de mogelijkheid om dieper in te gaan op concrete voorbeelden van best practices en leerzame mislukkingen.

Strategische acquisitie

Een belangrijk onderdeel van het actieprogramma is de versterking van de strategische acquisitie, gericht op bedrijven die het LSH-ecosysteem kunnen versterken. NFIA en haar regionale partners in Nederland (Invest in Holland) hebben een team opgezet om deze acquisitie vorm te geven. Het LSH-team van Invest in Holland richt zich zowel op het aantrekken van investeringen van in het Verenigd Koninkrijk gevestigde LSH-bedrijven als op bedrijven uit bijvoorbeeld de Verenigde Staten en Azië waarvoor Nederland met de komst van het EMA nu mogelijk een interessantere vestigingslocatie is geworden. Tevens onderhoudt het LSH-team van Invest in Holland intensief contact met reeds in Nederland gevestigde bedrijven om verdere uitbreidingen te realiseren en hiermee de aanwezigheid in Nederland te versterken.

Inventarisatie infrastructuur en onderwijs
Parallel aan de hier genoemde inventarisatie van bedrijvigheid en de interactie tussen bedrijven en academische groepen zou ook een inventarisatie moeten plaatsvinden van de aanwezige infrastructuur en de wensen van betrokken partijen op dit gebied. Ook hier geldt dat, naast een gesprek met de relevante landelijke koepels en andere organisaties (Health-RI, BBMRI-NL, Go FAIR, Oncode Institute, EATRIS, etc.) input van individuele bedrijven en onderzoekers kan helpen om duidelijk te krijgen wat er goed werkt en waar nog zaken ontbreken. Op het gebied van onderwijs is een inventarisatie gewenst, ter actualisering van de Human Capital Agenda van Health~Holland uit 2016, in de context van de nieuwe Kennis- en Innovatieagenda en het missiegedreven innovatiebeleid. Er zijn veel verschillende universitaire en HBO/MBO opleidingen die rechtstreeks of indirect te maken hebben met therapieontwikkeling. De inventarisatie moet duidelijk maken in hoeverre deze opleidingen nog voldoende aansluiten bij de huidige wensen van de markt en studenten voldoende voorbereiden op toekomstige ontwikkelingen. Dat geldt ook voor postacademisch onderwijs en andere vormen van na- en bijscholing. Het ontwikkelen van een gezamenlijk curriculum voor experimentele therapieontwikkeling zou bijvoorbeeld een mooi concreet doel zijn waartoe partijen als CCMO, NVKFB, CHDR, CBG-MEB en de NVFG eerder al een intentieverklaring over hebben ondertekend.

Doelen:

- *Evalueren en desgewenst aanpassen van de strategische keuzes op het gebied van infrastructuur (programmalijn 1) en speerpunten op het gebied van onderzoek en ontwikkeling (programmalijn 2)*

Meerwaarde door samenhang

De drie FAST programmalijnen sluiten zoals gezegd aan bij verscheidene activiteiten die al in gang zijn gezet. De toegevoegde waarde van FAST zit in het versterken van de samenhang en versnipperde financiering samenvoegen, waardoor therapieontwikkeling sneller, succesvoller en betaalbaarder kan plaatsvinden. Een inventarisatie van bestaande sterke en zwakke punten in onderzoek, ontwikkeling en bedrijfsleven wint aan waarde wanneer er instrumenten zijn om sterke spelers aan elkaar te koppelen en eventuele zwakkere gebieden te versterken. Aandacht voor infrastructuur is van enorm belang, maar infrastructuur is nooit een doel op zich. Wanneer duidelijk is waar de prioriteiten liggen en welke gebieden infrastructureel versterkt moeten worden, kunnen ook die investeringen meer opbrengen. Zo zou bijvoorbeeld in een plaats waar strategisch gekozen wordt voor regeneratieve geneeskunde, een incubator thuishoren die deze ontwikkeling stimuleert, terwijl elders de keuze voor kunstmatige intelligentie en data, of voor de ontwikkeling van medische technologie, met andersoortige infrastructuur versterkt kan worden. Om dit verder te verduidelijken, worden in dit hoofdstuk de speerpunten van programmalijn 2 nader belicht in samenhang met de andere programmalijnen.

De rol van bedrijven

In de kennisagenda die werd samengesteld in het kader van de betreffende NWA-route lezen we dat regeneratieve geneeskunde oplossingen zoekt die de kwaliteit van leven verhogen en de zorgkosten kunnen verlagen. Die financiële winst kan worden geboekt door verdere verkorting van de opnameduur dankzij minimaal invasieve ingrepen, door versnelde revalidatie en (met name) doordat de dure en belastende therapieën overbodig worden. Tegelijkertijd biedt regeneratieve geneeskunde volgens de kennisagenda ook economische kansen.

Op het gebied van wetenschappelijk onderzoek in de regeneratieve geneeskunde behoort Nederland tot de topgroep. De vertaalslag naar breed inzetbare toepassingen moet echter nog plaatsvinden. De inventarisatie (FAST programmalijn 3) kan nieuw inzicht geven op de gehele keten van innovatief onderzoek tot en met toepassingen, om gericht te werken aan knelpunten. Sommige van deze knelpunten zullen gelegen zijn op het terrein van infrastructuur en onderwijs (FAST programmalijn 1), bijvoorbeeld GMP-productiefaciliteiten en scholing voor medisch specialisten en andere zorgprofessionals die met regeneratieve technieken moeten werken. Het is goed denkbaar dat het succes van regeneratieve geneeskunde versterkt kan worden door de inspanningen op het gebied van personalised medicine, met de daaruit voortkomende gedetailleerde kennis over ziekteprocessen, genetische factoren en omgevingsfactoren. Omgekeerd zullen technieken uit de regeneratieve geneeskunde (organoids, organs-on-a-chip, embryomodellen uit geïnduceerde pluripotente stamcellen (iPS)) gebruikt worden bij het preklinisch onderzoek naar nieuwe geneesmiddelen.
Hoogstwaarschijnlijk zullen sommige toepassingen in de regeneratieve geneeskunde moeilijk te beoordelen zijn met het huidige instrumentarium van de regulatoire autoriteiten. Ten dele zijn deze barrières te voorzien en kunnen al nader onderzocht worden. Wisselwerking met het speerpunt regulatoire wetenschap in programmalijn 1 ligt dan ook voor de hand.

Misschien is een van de belangrijkste vragen op het gebied van regeneratieve geneeskunde de rol van het bedrijfsleven. Hoe sluiten bedrijven optimaal aan bij deze ontwikkelingen en wat zou hun rol moeten zijn? Enerzijds beschikken bedrijven bij uitstek over de mogelijkheden voor verdere ontwikkeling en opschaling en hebben zij de implementatiekracht om brede beschikbaarheid en continue kwaliteit te garanderen. Een keerzijde van een bedrijfsmatige benadering kan zijn dat (een deel van) de hierboven genoemde besparingen op het gebied van zorgkosten teniet gedaan worden. Dit vraagt dus om een open benadering, waarbij aan de hand van concrete experimenten gezocht moet worden naar de juiste aanpak. Alternatieve ontwikkelingsmodellen kunnen daarbij een rol spelen, waarbij zelfs gedacht kan worden aan een ondernemende rol voor umc's en andere zorgaanbieders.

Helicopter view

‘Het dichten van de innovatiekloof tussen wetenschap en praktijk vraagt om samenwerking tussen partners die elkaar nu nog niet altijd goed weten te vinden. Binnen het biomedisch onderzoek zal meer samenwerking ontstaan tussen fundamentele, translationele en toegepaste onderzoekers.

Om daadwerkelijk innovatie te kunnen realiseren in de zorgpraktijk moeten bedrijven nieuwe kennis doorontwikkelen tot bruikbare producten en standaarden.’ Aldus de tekst bij de NWA-route Personalised Medicine. De FAST-aanpak kan ervoor zorgen dat deze intenties ook werkelijkheid worden, op een manier die recht doet aan de inspanningen van alle betrokkenen en waarbij ook de beschikbaarheid en betaalbaarheid bewaakt worden.

Over het ideaal achter personalised medicine kan iedereen het snel eens worden: elke patiënt de behandeling geven die bij hem of haar past, waarbij de kans op succes geoptimaliseerd wordt en de kans op ongewenste bijwerkingen geminimaliseerd. Ook het innovatieve bedrijfsleven heeft dit beginsel omarmd. "De Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen is er van overtuigd dat personalised medicine dé methode is om de patiëntenzorg op een hoger plan te brengen", schrijft de VIG in een visiedocument waarin wordt opgeroepen tot een nationale coalitie op het gebied van personalised medicine. Vanuit het oogpunt van zorgkosten is een kritische blik op dit thema echter wel gewenst. Er zijn enerzijds wel kansen voor besparingen, doordat idealiter geen geneesmiddelen meer gegeven worden aan patiënten die er geen baat bij hebben en doordat er minder ongewenste bijwerkingen zijn, met alle meerkosten van dien (additionele medicatie, ziekenhuisopnames, et cetera). Aan de andere kant zal de prijs van die effectieve behandeling vaak wel omhoog gaan, zeker bij middelen die nog onder octrooibescherming vallen. De fabrikant richt zich immers op een veel smallere afzetmarkt en moet toch zijn investeringen terugverdienen. De kosten voor *companion diagnostics* mogen ook niet uit het oog verloren worden.

Ook op dit terrein is het belangrijk om vanuit een helicoptervisie te kijken naar het gehele proces en zo nodig bij te sturen waar de wetenschap en de markt niet vanzelf tot de optimale oplossingen komen. De inventarisatie uit programmalijn 3 biedt mogelijkheden om kansen te identificeren en doelstellingen te verhelderen. Waar is personalised medicine nu al onderdeel van de dagelijkse praktijk? Welke gebieden lenen zich het beste voor deze benadering? Onderdeel van deze verkenning zou kunnen zijn dat de terminologie wordt aangescherpt. Hoe geïndividualiseerd moet de behandeling zijn willen we spreken van personalised medicine of *precision medicine*? Bij welke kans op effect en bij welk niveau van bijwerkingen is deze aanpak geslaagd? Is er al iets te zeggen over ontwikkelingskosten en opbrengsten? Willen we ons bij voorkeur richten op nieuwe therapieën en middelen die nog onder octrooi zijn of kan personalised medicine ook de behandeling met generieke preparaten/*biosimilars* verbeteren?

Dat programmalijn 1 van cruciaal belang is voor personalised medicine, spreekt vanzelf. De gedachte achter personalised medicine is immers dat een big data benadering doorslaggevend is. Een goed functionerende data-infrastructuur is dus een logische randvoorwaarde. Minstens even belangrijk is de scholing en nascholing van zorgprofessionals. Zij moeten leren omgaan met een nieuwe kijk op diagnostiek en therapie, en deze helder kunnen overbrengen op patiënten en naasten. Dat vraagt ook om reflectie op thema's als *shared decision making* en de eigen professionaliteit. Net zoals men bij de introductie van richtlijnen soms sprak van 'kookboekgeneeskunde' kan ook een personalised medicine algoritme als een keurslijf worden ervaren. FAST kan als onafhankelijke instantie deze reflectie ondersteunen en de balans bewaken in het debat tussen zeloten en cynici dat bij elke innovatie de kop opsteekt.

Zoals gezegd bestaan er ook diverse dwarsverbanden tussen de speerpunten binnen programmalijn 2. Het gebied van personalised medicine zal met name ook een uitdaging vormen voor regulatoire wetenschappers, aangezien de trend naar individualisering van de geneeskunde haaks staat op de gebruikelijke methodologie van de gerandomiseerde klinische studie. Die gecontroleerde gerandomiseerde studie (RCT) is nu nog het hoogste niveau van bewijs, maar als het ideaal van geïndividualiseerde behandelingen werkelijkheid wordt, kan een RCT hooguit een (klein) deel van de bewijsvoering bieden. Ook met andere speerpunten, zoals de weesgeneesmiddelen, de regeneratieve geneeskunde en de alternatieve bedrijfsmodellen zijn raakvlakken.

Knelpunten oplossen

De regulatoire wetenschap is een toegepaste wetenschappelijke discipline. Dat wil zeggen dat enerzijds gestreefd wordt naar een hoge wetenschappelijke standaard en de toepassing van geavanceerde methodologieën, terwijl de vraagstellingen niet ingegeven worden door pure wetenschappelijke nieuwsgierigheid, maar door pragmatische vraagstellingen. Overheden, regelgevende instanties, patiënten, behandelaars, bedrijven en anderen hebben belang bij helderheid, zoveel mogelijk zekerheid en tegelijkertijd een vlot beoordelingsproces. Dat geldt zowel voor de markttoelating als voor de afweging of een behandeling voor vergoeding in aanmerking komt. Vanwege deze verwevenheid met de praktijk is de regulatoire wetenschap ondergebracht bij programmalijn 1.
De regulatoire wetenschap in Nederland is een overzichtelijk veld, dus de inventarisatie (programmalijn 3) zal op dit terrein waarschijnlijk geen verrassende nieuwe inzichten opleveren. Wel kunnen uit de gesprekken met onderzoekers, ondernemers, behandelaars en wellicht ook patiënten vraagstellingen naar voren komen die relevant zijn voor dit vakgebied. Het gaat binnen programmalijn 3 immers ook om een inventarisatie van knelpunten; het is goed denkbaar dat een deel van die knelpunten op te lossen zijn binnen de regulatoire wetenschap. De inspanningen op het gebied van infrastructuur en onderwijs kunnen versterkend werken voor de regulatoire wetenschap en de wisselwerking tussen deze wetenschap en de praktijk van therapieontwikkeling stimuleren. De dwarsverbanden tussen regulatoire wetenschap en de andere speerpunten binnen programmalijn 3 zijn evident en worden al besproken bij de andere speerpunten.

Weesgeneesmiddelen en alternatieve ontwikkelingsmodellen

Nederland speelt een belangrijke rol binnen Europa op het gebied van de diagnostiek en behandeling van zeldzame aandoeningen. Verscheidene vooraanstaande clinici/onderzoekers uit ons land zijn betrokken bij European Reference Networks en andere samenwerkingsverbanden. Mede dankzij gerichte programma's in de afgelopen jaren is ook hard gewerkt aan de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen. De inventarisatie in de derde FAST programmalijn kan duidelijk maken waar de beste kansen liggen voor nieuwe initiatieven en waar de markt tekortschiet bij het tegemoetkomen aan de behoefte van patiënten met zeldzame aandoeningen. Magistrale bereiding bijvoorbeeld biedt een legale mogelijkheid om patiënten essentiële behandeling te geven waar de markt tekortschiet door geen of exorbitant dure producten te leveren. Het is daarbij niet de bedoeling om te polariseren, maar juist om te signaleren. In veel gevallen kan dit signaal worden opgepakt door de markt, waardoor een product weer normaal beschikbaar komt tegen een redelijke prijs. In andere gevallen, bijvoorbeeld als een aandoening te zeldzaam is, kan FAST bijdragen aan de beschikbaarheid van producten voor alle patiënten binnen Nederland of zelfs een grotere regio. Wat dit voorbeeld duidelijk maakt, is dat FAST creatieve oplossingen voorstaat waarbij zoveel mogelijk relevante spelers worden betrokken. Op deze manier kan onderzocht worden wat het beste werkt, om deze optimale oplossingen vervolgens breder toe te passen, in Nederland en daarbuiten.

Internationale aspecten: de meerwaarde van Nederland

Nederland kan zich qua omvang en investeringskracht niet meten met grote internationale spelers op het gebied van wetenschap en bedrijvigheid. Ons land heeft echter wel een groot potentieel om tot de meest vernieuwende regio's van de wereld te behoren. Onze gezondheidszorg functioneert op hoog niveau: onze umc's en (STZ) ziekenhuizen staan internationaal hoog in aanzien op het gebied van wetenschappelijk onderzoek en topzorg, onze samenleving is goed georganiseerd en het opleidingsniveau is hoog. Daar komt bij dat onze cultuur sterk gericht is op overleg en communicatie. Waar in de meeste andere landen hiërarchische verhoudingen rechtstreekse communicatie bemoeilijken, is het hier goed denkbaar dat bijvoorbeeld een startende ondernemer rechtstreeks en open contact heeft met een hoogleraar of hoge ambtenaar. Dat biedt kansen voor experimenten, bijvoorbeeld met nieuwe businessmodellen.

SPRING-PLANK

Overigens betekent de nadruk op Nederland in dit plan niet dat alle hier genoemde activiteiten ook binnen de grenzen van ons koninkrijk uitgevoerd zullen worden, of met Nederlands belastinggeld gefinancierd. Wetenschap en ondernemerschap zijn sinds jaar en dag internationaal georiënteerd. Nederlandse onderzoekers maken deel uit van Europese consortia, waarin kennis en expertise, materialen en data worden uitgewisseld. ZonMw speelt in op deze internationale trend door het SPRING-PLANK initiatief dat dankzij transnationale financiering aandacht mogelijk maakt voor onderwerpen die buiten de huidige subsidieprogramma's vallen. Ook samenwerking met bedrijven hoeft zich niet te beperken tot in Nederland gevestigde bedrijven. Op voorwaarde dat er zorgvuldige afspraken gemaakt worden, kunnen publiek private samenwerkingsverbanden worden opgezet met bedrijven in andere Europese landen of zelfs buiten Europa.

Vooraanstaande positie

FAST wil gebruikmaken van de bovengenoemde sterke punten in het Nederlandse ecosysteem om het proces van therapieontwikkeling sneller en efficiënter te maken, uiteraard met gebruikmaking van internationale expertise en cofinanciering waar mogelijk. Het is niet mogelijk, en ook niet nodig, om voor alle grote problemen van onze verouderende bevolking binnen Nederland de gouden oplossing te verzinnen. Als we met enkele sterke voorbeelden kunnen laten zien wat er mogelijk is (*proof of principle*), kunnen we wereldwijd een relatief grote impact hebben op de ontwikkeling van toegankelijke, duurzame behandelingen. Net zoals nu bepaalde regio's in de wereld een sterke naam hebben op het gebied van innovatie (denk bijvoorbeeld aan de regio rond Boston in de Verenigde Staten), zo willen we Nederland in de komende jaren sterker op de kaart zetten. Voortbouwend op een bestaande sterke basis moet het mogelijk zijn om in enkele jaren een zichtbaar verschil te maken.

Financiën: kleine organisatie, grote impact

Er is in de afgelopen jaren wel eens gesproken over het opzetten van een overheidsfonds voor de ontwikkeling van nieuwe therapieën. FAST is niet bedoeld als een dergelijk fonds. Wel is het bedoeld als stimulering van ontwikkelingen die niet vanzelf in de academie, umc of markt tot stand komen en om te voorkómen dat wetenschap en marktpartijen therapieën gaan ontwikkelen zonder voldoende coördinatie, met onvoldoende kennis over elkaars belangen en mogelijkheden en met onvoldoende inbreng van patiënten en behandelaars. De nadruk ligt bij FAST op het samenbrengen van expertise, op het ondersteunen en informeren van betrokken partijen. Daar kan desgewenst een rol als financier van infrastructurele voorzieningen en/of gerichte experimenten bijkomen.

Kristallisatiepunt

De kern van FAST is een kleine hoogwaardige organisatie, die als kristallisatiepunt dient voor een groter netwerk van experts. Deze experts worden geworven uit de werelden van wetenschap, bedrijfsleven, regulatoire instanties, patiëntenbelangen en overheden. Zij werken mee vanuit een gedeelde visie op toekomstige betaalbare en duurzame therapieën.

Synergie bevorderen

De Nederlandse overheid investeert al op verschillende manieren in therapieontwikkeling: in wetenschappelijk onderzoek, in infrastructuur, onderwijs, regelingen voor startende bedrijven en in regulatoire instanties (CCMO, CBG, ZIN, etc.). Al deze bestaande instanties en structuren zetten zich naar beste vermogen in, maar het is zeer waarschijnlijk dat er inefficiënties in het systeem zijn ingeslopen, die met betere coördinatie opgelost kunnen worden. Daar is nauwelijks extra geld voor nodig, wel voldoende kennis (bijvoorbeeld afkomstig uit programmalijn 3) en expertise uit het FAST-netwerk. Soms kan het daarbij nuttig zijn als FAST kan beschikken over eigen middelen om een gewenste ontwikkeling te stimuleren en zo anderen over de streep te trekken of een startsubsidie te verstrekken waarna een gedeelde business case de doorlopende financiering kan borgen.

Stimuleringsfonds

Naast de bovengenoemde bescheiden investeringen in het FAST-netwerk kan ervoor gekozen worden om FAST een eigen budget te geven voor het financieren van experimenten. Het realiseren van de strategie wordt zonder twijfel vergemakkelijkt wanneer FAST de middelen heeft om daadwerkelijk experimenten mogelijk te maken, bijvoorbeeld bij het naar de kliniek brengen van regeneratieve technieken, het stimuleren van generieke weesgeneesmiddelen, het versnellen van het ontwikkelingsproces of het opzetten van alternatieve ontwikkelingsmodellen. Zonder eigen stimuleringsfonds is FAST aangewezen op bestaande fondsen in binnen- en buitenland, waardoor het in gang zetten van gewenste ontwikkelingen waarschijnlijk trager verloopt en wellicht zelfs op sommige punten zal falen. De omvang van een FAST stimuleringsfonds zal nader uitgewerkt moeten worden. Afhankelijk van de ontwikkelingen tijdens de uitvoeringsfase zal bezien worden of dit budget bijstelling behoeft. Overigens bestaat ook hier de mogelijkheid om te experimenteren met verschillende vormen. Soms is een subsidie de meest voor de hand liggende vorm, in andere gevallen kan een *revolving fund* worden opgezet, waarin ook weer middelen terugvloeien bij succesvolle ontwikkelingen. Andere vormen, zoals stimulans voor bedrijven die generieke weesgeneesmiddelen in de markt zetten, verdienen eveneens nader onderzoek.

Conclusie

FAST: sturing, afstemming, synergie

De tijd is rijp voor FAST. Nederland beschikt al over een aantal troeven, waardoor we internationaal een vooraanstaande positie op het gebied van therapieontwikkeling kunnen innemen. Onze kennisinstellingen zijn van hoog niveau en zijn gewilde samenwerkingspartners in internationale consortia. Het opleidingsniveau van onze bevolking is hoog en er zijn veel innovatieve bedrijven in ons land. Onze gezondheidszorg is goed georganiseerd en van homogene kwaliteit. Door deze factoren heeft Nederland misschien wel het beste klimaat voor klinische onderzoek in de wereld. Er zijn bovendien korte lijnen tussen beleidsmakers en onderzoekers/ondernemers, waarbij de bereidheid bestaat om op deelgebieden te experimenteren. In de afgelopen jaren is, vaak in samenhang met kennisinstellingen, een sterke biotechsector gegroeid, die het vertrouwen geniet van risico-investeerders. De komst van het EMA kan als katalysator werken bij de verdere groei van kennisintensieve samenwerkingsverbanden tussen academische groepen, bedrijven, behandelaars en patiënten. In combinatie met de bovengenoemde maatschappelijke noodzaak voor therapieontwikkeling en de wetenschappelijke innovaties is er een momentum ontstaan dat kansen biedt voor de Nederlandse kenniseconomie en voor onze gezondheidszorg. FAST kan dit momentum focussen en versterken.

De tijd is niet alleen rijp voor FAST, het is ook hoog tijd dat we investeren in meer intelligente en efficiënte therapieontwikkeling en laten zien hoe dit kan – en moet. Voor een groot aantal (zeldzame) aandoeningen bestaat immers nog steeds geen effectieve behandeling terwijl er al wel technologie voorhanden is om dit mogelijk te maken. Voor andere ziekten bestaat er wel een behandeling, maar zijn de kosten niet of nauwelijks op te brengen. Een deel van die kosten is te verklaren uit inefficiëntie in het systeem van therapieontwikkeling. Bedrijven en investeerders geven miljarden uit aan de ontwikkeling van veelbelovende kandidaat geneesmiddelen, die uiteindelijk toch sneuvelen op weg naar de markt. Hier kan FAST het verschil maken.

Door aansprekende voorbeelden van succesvolle therapieontwikkeling, door inhoud te geven aan beschikbaarheid, betaalbaarheid en duurzaamheid kan FAST een grote impact hebben op de Nederlandse gezondheidszorg en het wereldwijde systeem van geneesmiddelontwikkeling. Hoog tijd dus om snel met FAST te beginnen.

De ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen en medische interventies is sterk in beweging, onder meer door de opkomst van nieuwe therapieën (celtherapie, genetische modificatie, etc.), personalised medicine en regeneratieve geneeskunde. Dat biedt kansen om therapieën te ontwikkelen voor chronische ziekten en aandoeningen als dementie. Om de toekomstige therapieën - future therapies - optimaal van het laboratorium naar de individuele patiënt te brengen is een kennisintensief proces nodig, mogelijk met nieuwe businessmodellen en (publiek/private) samenwerking -en financieringsmodellen. Door dit proces gericht te ondersteunen en bestaande initiatieven beter met elkaar te verbinden, ontstaan unieke kansen voor Nederland om een vooraanstaande positie in te nemen op het terrein van Future Affordable and Sustainable Therapies (FAST). Deze schets moet de aanzet vormen voor FAST, een nieuw programma op het gebied van therapieontwikkeling, dat bestaande activiteiten met elkaar verbindt en nieuwe activiteiten initieert, om het gehele proces van therapieontwikkeling te ondersteunen.

ZonMw stimuleert
gezondheidsonderzoek en
zorginnovatie

Laan van Nieuw Oost-Indië 334
2593 CE Den Haag
Postbus 93245
2509 AE Den Haag
Telefoon 070 349 51 11
info@zonmw.nl
www.zonmw.nl

04/10/2019/TOI

ZonMw