FAST

Impuls voor innovatieve therapieontwikkeling

Rapportage van de kwartiermakers:
Dr Michel A. Dutrée
Dr Saco de Visser

Managementsamenvatting

Nieuwe noodzakelijke behandelingen zo snel mogelijk bij de patiënt krijgen, tegen aanvaardbare kosten, dat is waar nog veel te winnen valt. Innovatieve ontwikkelingen vragen een geïntegreerde aanpak waarbij gerichte financiering door de keten heen en voorwaarden voor optimale samenwerking centraal staan. In dit rapport geven we aan hoe Future Affordable and Sustainable Therapies (FAST) hieraan bijdraagt: door publieke middelen gerichter en in betere samenhang in te zetten om zo betaalbaarheid en innovatie hand in hand te laten gaan.

Een geïntegreerde en gefocuste aanpak is nodig om versneld betaalbare innovatieve therapieën te ontwikkelen voor een duurzaam gezondheidsstelsel. Door onder andere meer samenhang aan te brengen in het versnipperde financieringslandschap wordt het innovatieproces in de volle lengte en breedte sterker gestimuleerd en worden de administratieve lasten voor aanvraag en verantwoording verlaagd. De tijd is rijp voor een gezamenlijke aanpak en investering. Immers, de inzet van publieke middelen biedt mogelijkheden om de *cost of capital* bij therapieontwikkeling te drukken of de *cost of failure* in sommige gevallen op zich te nemen. Bovendien kunnen voorwaarden worden ingebouwd om geneesmiddelen en behandelingen van de toekomst optimaal beschikbaar en betaalbaar te houden voor patiënten. Deze integrale aanpak voor innovatieve therapieontwikkeling biedt ook de randvoorwaarden om een gemeenschappelijke, goed ontsloten infrastructuur te ontwikkelen. Er zijn veel partijen betrokken bij therapieontwikkeling die in verschillende fases optimaal moeten kunnen samenwerken. FAST gaat die samenwerking versterken en waar nodig verbeteren.

FAST is een voorstel voor een nieuwe gerichte aanpak vanuit de Nederlandse overheid (ministeries van VWS en EZK) voor innovatieve therapieontwikkeling. In het samenspel tussen publieke en private belangen kan de overheid met een nieuwe impuls enerzijds investeren in een optimale omgeving en klimaat voor therapieontwikkelaars. Anderzijds kan met een nieuwe impuls worden geïnvesteerd in beloftevolle ontwikkelingen om deze sneller van lab naar patiënt te krijgen.

Om op het gebied van therapieontwikkeling daadwerkelijk verschil te kunnen maken en de sterke Nederlandse internationale positie op medisch-wetenschappelijk gebied te kunnen verzilveren, is uiteindelijk een jaarbudget van tenminste 150 miljoen euro nodig. Om echt impact te bewerkstelligen is niet alleen deze significante investering nodig, maar ook het maken van keuzes in speerpunten waarin Nederland voorop wil lopen. In eerste instantie kan hierbij worden gedacht aan regeneratieve geneeskunde, *personalised medicine* en behandelingen voor zeldzame aandoeningen. De huidige coronacrisis laat zien dat ook behandeling van infectieziekten en vaccinontwikkeling een mogelijk centraal speerpunt zou kunnen zijn.

Na het nemen van het principebesluit tot de oprichting van FAST (stap 1) zal de inhoudelijke programmeerslag samen met veldpartijen moeten worden gemaakt (stap 2). Dit rapport is bedoeld om voldoende houvast te geven om dit principebesluit te kunnen nemen. FAST omvat meer dan innovatief en translationeel onderzoek in kennisinstellingen, meer dan alleen het stimuleren van bedrijvigheid dan wel publiek-private samenwerkingen of het inspelen op *unmet needs* van mensen met chronische ziekten. FAST biedt een geïntegreerde benadering waarin deze aspecten *in samenhang en met regie* worden geprogrammeerd. Dat maakt FAST tot een nieuw en inspirerend initiatief waarvan de timing niet actueler had kunnen zijn.

Voorwoord

Op 20 februari begonnen ondergetekenden als kwartiermakers voor Future Affordable and Sustainable Therapies (FAST). Het zijn boeiende en afwisselende maanden geweest. De coronacrisis heeft ons danig beperkt in de bijeenkomsten die we voor ogen hadden maar desondanks hebben we veel uiteenlopende mensen gesproken en verschillende meningen gehoord. In veel van deze discussies werd nog duidelijker waar de meerwaarde van FAST ligt en ook waar nog misverstanden en twijfels bestonden.

Wij zijn gesterkt in onze overtuiging dat de keuze voor FAST een gunstige impuls kan geven aan het gehele veld van therapie-ontwikkeling, door versterking van de infrastructuur en de ontwikkeling van enkele aansprekende producten. Dat vraagt uiteraard om keuzes, bijvoorbeeld voor de in dit rapport genoemde speerpunten regeneratieve geneeskunde, personalised medicine en zeldzame aandoeningen. Ook moet worden aangetoond hoe innovatie en betaalbaarheid hand in hand kunnen gaan. Daarnaast is duidelijk geworden dat er winst te boeken is door beter te ontsluiten wie op welke terreinen beschikt over kennis, infrastructuur en financieringsmogelijkheden. Zo kan de succeskans van therapieontwikkeling worden bevorderd.

In deze rapportage geven wij aan hoe FAST vorm kan krijgen en ook kan bijdragen aan het Actieprogramma ‘Nieuwe kansen voor topsector Life Sciences & Health’ en het realiseren van de Kennis- en Innovatieagenda Gezondheid en Zorg. Onderdeel van de gekozen vorm is dat de programmatische invulling zal worden verzorgd door instanties die daar al veel ervaring mee hebben, zoals Health~Holland, ZonMw en recentelijk ook Invest-NL. Dat betekent dat we in dit rapport op hoofdlijnen duidelijk maken wat FAST beoogt; voor de invulling van de details is immers de inbreng van de samenwerkingspartners essentieel. Dit rapport is dus geen programmavoorstel, maar meer een programma van eisen, dat de randvoorwaarden schetst voor die verdere programmatische uitwerking.

Wij zijn ervan overtuigd dat wanneer de beslissing om FAST te starten snel en met lef wordt genomen, de positie van Nederland op het gebied van de innovatieve therapieontwikkeling zal worden versterkt door een gerichte nieuwe impuls, met extra aandacht voor de voortgang van de ontwikkeling en het tegengaan van versnippering. De maatschappelijke en economische waarde van FAST zal in de praktijk duidelijk worden. FAST stimuleert duurzame economische groei door kennisontwikkeling en menselijk kapitaal. Dat betekent dus dat FAST in velerlei opzichten investeert in de toekomst.

Den Haag, oktober 2020,

Michel Dutrée en Saco de Visser

FAST in een beeldspraak:

De luchtverkeerstoren van een vliegveld houdt met een beperkt aantal mensen het overzicht over de vliegbewegingen. Elke piloot behoudt zijn of haar eigen verantwoordelijkheid, net als het grondpersoneel en alle anderen op de luchthaven. We zien FAST als regieorgaan, met een kleine effectieve organisatie verankerd in de praktijk van academische therapieontwikkeling, publiek-private samenwerkingen en innovatieve bedrijven.

Colofon

Redactie: Michel Dutrée, Saco de Visser,
Benien Vingerhoed-van Aken, Pieter van Megchelen

Inhoudsopgave

Managementsamenvatting 2
Voorwoord 3
Inhoudsopgave 4
Samenvatting 5

1 FAST: kansen verzilveren 10

1.1 Een sterke uitgangspositie 11
1.2 Stimuleren en barrières opheffen 11
1.3 Maatschappelijk belang 12
1.4 Economische en wetenschappelijke voordelen 12
1.5 Innovatiegolf: een nieuwe kijk op therapieontwikkeling 12
1.6 Samenhang creëren 13
1.7 Wat wordt bedoeld met 'affordable' en 'sustainable'? 13
1.8 Lessen uit de COVID-19 crisis 13
1.9 Medtech, 4D en de toekomst 15
1.10 Voor patiënten door patiënten 15
1.11 Speerpunten 16
1.12 Taken van FAST 16
1.13 Voortbouwen op kracht 16

2 Het kwartiermakersproces 17

2.1 Inleiding 18
2.2 Kwartiermaken in tijden van corona 18
2.3 Oogst uit de gesprekken 18
2.4 Bestaande knelpunten 18
2.5 Kritische vragen bij het FAST-concept 19

3 Wat FAST moet doen 21

3.1 Inleiding 22
3.2 Speerpunten 22
3.2.1 Regeneratieve geneeskunde 22
3.2.2 Personalised medicine 22
3.2.3 Zeldzame aandoeningen 23
3.3 Inventarisatie en evaluatie 23
3.4 Taken van FAST 24
3.4.1 Informatie verzamen en ontsluiten: Grids en het FAST Impuls loket 24
3.4.2 Knelpunten signaleren en adresseren 25
3.4.2.1 FAST Regulatory Science 25
3.4.3 Infrastructuur 26
3.4.3.1 Incubators 26
3.4.4 Doorgeleiden naar hoger TRL-niveau ('doorfinancieren') 26
3.4.4.1 Programmering via samenwerkingspartners 26
3.4.4.2 Alternatieve ontwikkelings- en financieringsmodellen 27
3.4.5. Onderwijs 27
3.5 Doorontwikkeling 28
3.6 Aansluiting bij bestaande en geplande initiatieven 28

4 De FAST-organisatie: verankerd in de praktijk 29

4.1 Inleiding 30
4.2 Hoofdlijnen 30
4.3 Financiering 30
4.3.1 Globale onderbouwing budget 31
4.3.2 Bundeling publieke middelen 32
4.4 Organisatie, governance en inbedding 32
4.4.1 Uitvoeringsorganisatie FAST 32
4.4.2 Veldexpertiseraad 33
4.4.3 Juridische vorm 33
4.4.4 Governance 33
4.4.4.1 Raad van toezicht 33
4.4.5 Organisatorische inbedding 34
4.5 Continue wisselwerking met het veld 35
4.5.1. Regionale initiatieven 35
4.6 Conclusie 35

5 FAST: de eerste jaren 36

5.1 FAST eerste stappen 37
5.2 Eerste activiteiten en programma's 37
5.3 Groeiend budget 37

Bijlagen 38
1. Concept indeling convenant FAST 38
2. Werken met grids 39
3. Gesprekspartners van de kwartiermakers waren afkomstig van onderstaande organisaties 42
4. Globale opbouw en verdeling van het FAST-budget 43
5. Lijst met afkortingen 44
6. Opdrachtbrief aan ZonMw 45

Samenvatting

Future Affordable & Sustainable Therapies (FAST) is een nieuwe gerichte impuls vanuit de Nederlandse overheid (ministeries van VWS en EZK) voor innovatieve therapieontwikkeling[1]. FAST vormt op een aantal speerpunten een versterking van de benodigde verbindende schakel tussen academie, bedrijfsleven en kliniek, om nieuwe behandelingen zo snel mogelijk bij de patiënt te krijgen, tegen aanvaardbare kosten. De nieuwe impuls zal in nauwe samenwerking met bestaande structuren en organisaties de therapieontwikkeling op een aantal terreinen (speerpunten) gericht stimuleren:

- door het ontsluiten van informatie en het bijeenbrengen van relevante partijen;
- door het signaleren en adresseren van knelpunten;
- door de benodigde infrastructuur te versterken;
- door het inzetten, organiseren en faciliteren van op elkaar aansluitende financiering ('doorfinancieren');
- door onderwijs rond therapieontwikkeling te bevorderen.

Om op het gebied van therapieontwikkeling daadwerkelijk verschil te kunnen maken en de sterke Nederlandse internationale positie op medisch-wetenschappelijk gebied te kunnen verzilveren, is uiteindelijk een jaarbudget van tenminste 150 miljoen euro nodig.

Dat zijn de belangrijkste conclusies van de kwartiermakers die in opdracht van VWS en EZK een rondgang hebben gemaakt langs een groot aantal betrokken organisaties. Zij bepleiten de vorming van een kleine slagvaardige uitvoeringsorganisatie, die gebruik maakt van de expertise van partners als ZonMw, Health~Holland en Invest-NL en binnen de speerpunten meer samenhang aanbrengt in de publieke financiering van innovatieve therapieontwikkeling van lab tot patiënt.

Speerpunten

De FAST-impuls verrijkt het bestaande landschap van biomedisch onderzoek, geneesmiddelontwikkeling en klinische studies, dat verder ongewijzigd blijft bestaan. Hoewel een jaarbudget van 150 miljoen uiteraard aanzienlijk is in subsidieland, is het een bescheiden bedrag voor het ontwikkelen van een behandeling tot en met de klinische toepassing. Om daadwerkelijke innovaties door te financieren, zal dus gekozen moeten worden voor specifieke speerpunten die nauw in samenspraak met de samenwerkingspartners bij de financiering aansluiten bij bestaande Nederlandse R&D-prioriteiten. De FAST-impuls richt zich in beginsel op drie speerpunten:

- **Personalised medicine:** het op grond van klinische, genetische en andere data veel gerichter aanbieden van geneesmiddelen, waardoor de effectiviteit toeneemt en de kans op bijwerkingen kleiner wordt.
- **Regeneratieve geneeskunde:** het genezen van chronische aandoeningen door het herstellen van zieke of beschadigde weefsels en organen. Er wordt gebruik gemaakt van innovatieve benaderingen en concepten zoals geïnduceerde pluripotente stamcellen (IPS), gentherapie en biomaterialen.
- **Zeldzame aandoeningen:** naast het ontwikkelen van nieuwe behandelingen betreft het hier ook het doorontwikkelen van bestaande middelen voor nieuwe toepassingen en het oplossen van problemen rond duurzame beschikbaarheid en betaalbaarheid.

Nederlandse kennisinstellingen behoren op deze drie terreinen tot de wereldtop, maar de vertaalslag naar klinische toepassing en markttoegang blijkt vaak een grote uitdaging. FAST wil dit proces versnellen, door een nieuwe financiële impuls voor onderzoek en ontwikkeling en door de verschillende stappen ervan beter op elkaar af te stemmen. Het ontsluiten van kennis en expertise is dan ook een belangrijk instrument, naast het gericht doorgeleiden van kansrijke projecten naar hogere TRL's.

De gekozen speerpunten zijn nog steeds (te) breed; nadere aanscherping zal dan ook een hoge prioriteit hebben binnen een op te richten FAST-organisatie, in nauwe samenspraak met het veld en de betrokken ministeries, met patiëntenorganisaties en met het Actieprogramma 'Nieuwe kansen voor topsector Life Sciences en Health'. Daar kunnen ook nog nieuwe speerpunten uitkomen, zoals bijvoorbeeld preventie en behandeling van infectieziekten.

Waar bestaat behoefte aan?

Uit de gesprekken die de kwartiermakers voerden met meer dan 80 betrokkenen uit de werelden van beleid, patiëntenbelangen, onderzoek, patiëntenzorg en bedrijfsleven kwamen diverse behoeften naar voren die mede richting hebben gegeven aan het voorliggende voorstel. Er bestaat brede behoefte aan een nieuwe impuls voor onderzoek en ontwikkeling. Om deze optimaal te geleiden over de verschillende ontwikkelingsfases, gebruikmakend van bestaande instrumenten, is een duidelijk herkenbare organisatie nodig, waar ook vragen op het gebied van therapieontwikkeling kunnen worden neergelegd.

Een organisatie die de weg weet in het relevante onderzoek, kennis heeft op het gebied van infrastructuur en de ontwikkeling daarvan mede ondersteunt en die kan bevorderen dat kansrijke ontwikkelingen worden ondersteund in de lange weg van lab tot patiënt. Een organisatie met een tijdshorizon die verder gaat dan de gebruikelijke vierjaarlijkse financieringsrondes en zo voor de nodige continuïteit kan zorgen. En een organisatie die kan zorgen dat de verschillende vormen van financiering en de bijbehorende verantwoording beter op elkaar aansluiten.

De FAST-organisatie

Om dit alles te bereiken, bepleiten de kwartiermakers het inrichten van een kleine slagvaardige onafhankelijke organisatie (in aanvang ongeveer 5 FTE) die wordt ondergebracht bij ZonMw

[1] We gebruiken in dit rapport de termen 'therapie' en 'therapieontwikkeling' in plaats van 'geneesmiddel' en 'geneesmiddelontwikkeling', omdat innovatieve therapieën vaak complexer zijn dan een klassiek geneesmiddel. Het betreft bijvoorbeeld ook geavanceerde toepassingen zoals gentherapie, combinaties met devices, toepassing op het grensvlak tussen voeding en farmacologie, etc. De nadruk ligt op biologische en biochemische interventies. FAST zal bijvoorbeeld niet gaan over chirurgische en endoscopische interventies, psychotherapie, fysiotherapie en andere (overigens zeer waardevolle) vormen van therapie.

als gastheer. Er wordt geen nieuwe organisatie opgericht, maar FAST wordt ingesteld door een convenant tussen de opdrachtgevende ministeries en ZonMw, met een Raad van Toezicht die de voortgang bewaakt.

De FAST-uitvoeringsorganisatie zal zicht houden op de programmering van de impuls door organisaties die hier sinds jaar en dag ervaring mee hebben, zoals Health~Holland, ZonMw en recentelijk ook Invest-NL. Ook andere partners als Lygature, TNO en HealthRI zullen actief betrokken worden bij het ontwikkelen en uitvoeren van FAST. De FAST-organisatie zelf borgt de optimale aansluiting tussen de programmaonderdelen door de ontwikkelstadia heen, overziet en ontsluit de mogelijkheden die Nederland biedt op het gebied van de gekozen impuls.

Om de verankering in de praktijk te garanderen en beschikking te hebben over brede expertise, is een belangrijk element in de FAST-organisatie de Veldexpertiseraad. Deze bestaat uit deskundigen uit uiteenlopende organisaties en bedrijven, die ten minste twee keer per jaar bijeenkomen. Ook kan aan deze deskundigen gevraagd worden om zitting te nemen in taakgroepen die specifieke vragen helpen beantwoorden of nieuw beleid rond een bepaald thema ontwikkelen.

Tijd voor een keuze

Mede dankzij de kritische input van velen is de gedachtenvorming rond FAST aangescherpt. Het initiatief is daardoor versterkt. De kwartiermakers hopen dat hun verslag de basis kan vormen voor vlotte besluitvorming, om het huidige momentum te behouden en de FAST-impuls concreet vorm te geven. Dit is het moment om in Nederland te laten zien dat betaalbaarheid en innovatie hand in hand kunnen gaan en ons land zo op de kaart te zetten waar het gaat om het gericht ontwikkelen van toekomstige betaalbare en duurzaam beschikbare behandelingen.

Sterke uitgangspositie verzilveren

Nederland scoort internationaal hoog op het gebied van biomedisch wetenschappelijk onderzoek en gezondheidszorg. Er zijn ook diverse voorbeelden van nieuwe behandelingen en startups die hier tot stand zijn gekomen. Maar er zijn ook veel goede ideeën en innovatieve wetenschappelijke ontdekkingen die nog niet leiden tot klinische toepassing en winstgevende producten.

Vanuit de overheid zijn succesvolle initiatieven ontwikkeld die al gunstige ontwikkelingen in gang hebben gezet op deelgebieden, zoals Oncode Institute[2] en Regmed XB[3].

Er kan echter nog veel meer gedaan worden door gericht informatie te ontsluiten. Bovendien bestaat er grote behoefte aan een hernieuwde impuls, met name voor translationeel onderzoek als kraamkamer voor nieuwe innovatieve behandelingen. De rol die Nederland nu speelt in de ontwikkeling van vaccins en behandelingen tegen COVID-19 laat zien dat dit essentieel is. Momenteel is er echter in Nederland nauwelijks programmatische financiering voor dergelijk biomedisch, translationeel onderzoek.

De COVID-crisis laat tevens zien hoe belangrijk regie en samenhang zijn in de publieke financiering van therapieontwikkeling. Als de FAST organisatie begin 2020 al had bestaan, hadden de betrokken ministeries opdrachten kunnen uitzetten via een organisatie met overzicht over het bestaande onderzoek die de diverse inspanningen had kunnen regisseren. In de programmering moet meer oog komen voor het gehele ontwikkelingstraject, op een manier die een soepele aansluiting tussen de verschillende stappen mogelijk maakt ('doorfinancieren'). Enkele succesvolle voorbeelden kunnen het verschil maken, doordat Nederland duidelijker op de kaart wordt gezet op het terrein van translationeel onderzoek van innovatieve therapieontwikkeling.

FAST op hoofdlijnen

Zoals in hoofdstuk 3 van dit rapport nader beschreven wordt, zal FAST zich in samenwerking met zijn partners richten op een aantal cruciale taken:

- Het ontsluiten van informatie en het bijeenbrengen van relevante partijen op deze speerpunten door 'grid-management'. Door alle relevante informatie over onderzoek, infrastructuur en financiering in overzichtelijke 'grids' te bundelen en een breed netwerk van experts of diverse terreinen op te zetten, gaat FAST een sleutelrol vervullen als makelaar in het proces van innovatieve therapieontwikkeling.
- Het signaleren en adresseren van knelpunten in het gehele proces van therapieontwikkeling, waaronder regulatoire barrières.
- Het versterken van de infrastructuur (incl. incubatorfaciliteiten).
- Het inzetten van financiering via programmering bij partnerorganisaties die bijdraagt aan een soepeler verlopend proces van therapieontwikkeling op het gebied van drie speerpunten: behandelingen voor zeldzame aandoeningen, personalised medicine en regeneratieve geneeskunde, waarbij innovatie, duurzaamheid en betaalbaarheid hand in hand gaan. Daarbij wordt gedacht aan blended finance vormen en aan het inzetten en afstemmen van drie financieringsvormen: seed financing (subsidies), public private partnerships financing (waaronder publiek-private samenwerkingen) en construct financing, die goed op elkaar moeten worden afgestemd.
- Het faciliteren van onderwijs op het gebied van therapieontwikkeling, op het grensvlak tussen wetenschap en bedrijfsleven.

[2] *www.oncode.nl*

[3] *https://regmedxb.com/*

Werken aan synergie

De FAST-uitvoeringsorganisatie moet een onafhankelijke organisatie zijn die de impuls over de verschillende ontwikkelingsfases overziet en begeleidt.
FAST zal daarbij gebruikmaken van nieuwe programmering door partnerorganisaties met ervaring op dit gebied, zoals ZonMw, Health~Holland en Invest-NL. De belangrijkste meerwaarde van de FAST-impuls is het aanbrengen van samenhang in de publieke financiering van therapieontwikkeling. Dat vraagt om een coördinerende rol, met name bij de totstandkoming van programma's bij partnerorganisaties. FAST moet ertoe bijdragen dat programma's goed op elkaar aansluiten.

Een programma dat bijvoorbeeld het translationele onderzoek stimuleert, moet in de voorwaarden al zo zijn ingericht dat de uitkomsten optimaal bruikbaar zijn voor een vervolgstap, bijvoorbeeld voor het opzetten van een publiek-private samenwerking via Health~Holland. In zo'n vervolgprogramma kunnen aanvragers die afkomstig zijn uit een eerder FAST-programma en die dus al aan belangrijke voorwaarden voldoen, een grotere kans op honorering maken. Daarnaast kunnen ook aanvragers die hun begintraject buiten de FAST-impuls om gefinancierd hebben, instromen in een vervolgprogramma.

De verantwoordelijkheid voor de uitvoering van de programma's en de beslissing voor daadwerkelijke financiering berust volledig bij de partnerorganisaties, conform hun wettelijke mandaat. Het is dus niet de bedoeling dat de FAST-organisatie op projectniveau een sturende invloed uitoefent op de uitvoering van de programma's. In het algemeen kan worden gesteld dat naast kwaliteitscriteria ook andere criteria gehanteerd zullen worden, met name de verwachte maatschappelijke impact. Overigens kunnen centrale faciliteiten en overkoepelende infrastructuur zoals onderwijs desgewenst wel direct vanuit FAST worden gefinancierd.

FAST is, zoals blijkt uit bovengenoemde taken, meer dan alleen een financiële impuls. Het signaleren en aanpakken van knelpunten is eveneens belangrijk. Een duidelijk knelpunt in het proces van therapieontwikkeling is bijvoorbeeld het ontbreken van informatie. Academische startups weten niet automatisch de weg in de complexe regelgeving rond translationeel en vroeg-klinisch onderzoek. Investeerders hebben niet altijd voldoende inhoudelijke kennis over therapieontwikkeling om passende *milestones* af te spreken. Bedrijven zijn soms onvoldoende op de hoogte van regionale en landelijke stimuleringsprogramma's.

Ook kan nationale wet -en regelgeving soms onnodig beknellend werken en moeten belemmeringen worden aangepakt. FAST verwacht meerwaarde te kunnen leveren door informatie te ontsluiten en verbindingen te leggen, zodat een vloeiend en logisch proces ontstaat. De bovengenoemde taken hangen echter wel sterk samen. Zonder financiële impuls ontstaat er geen organisatie met voldoende slagkracht om de andere taken aan te pakken.

Streven naar impact

Aangezien therapieontwikkeling een kostbaar proces van lange adem is, moet FAST een looptijd van 10 jaar hebben, waarna opnieuw gekeken kan worden wat de optimale vorm is. Om voldoende impact te kunnen bereiken en daadwerkelijk bij te dragen aan duurzaamheid en betaalbaarheid, is een jaarlijks budget van tenminste 150 miljoen euro nodig. Uitleg bij deze claim wordt gegeven op pagina 29 en in bijlage 4. Die extra impuls dient om de ambities en potentie van de Nederlandse umc's, (technische) universiteiten, start-ups en bedrijfsleven te faciliteren en de unieke kans te pakken om de therapieontwikkeling van de toekomst in Nederland krachtig op de kaart te zetten. Met een financiële impuls uit publieke middelen is het ook gemakkelijker om investeringen uit binnen- en buitenland aan te trekken, zodat een veelvoud van dit bedrag terechtkomt bij therapieontwikkeling in Nederland.

FAST kan de *cost of capital* voor nieuwe behandelingen terugdringen door een alternatief financieringsmodel te helpen ontwikkelen, in sommige gevallen wat meer risico op zich te nemen rondom de *cost of failure* en daarnaast de ontwikkelkosten reduceren door de infrastructuur te verbeteren, professionals beter op te leiden en belemmeringen te signaleren en agenderen. Vanzelfsprekend mag er vanuit maatschappelijk oogpunt ook iets teruggevraagd worden voor het verbeteren van faciliteiten en het versterken van de sector, bijvoorbeeld via specifieke waarborgen op het gebied van beschikbaarheid en betaalbaarheid.

Unieke nieuwe aanpak

FAST is een gezamenlijk initiatief van de ministeries van VWS en EZK. Dat maakt het mogelijk om binnen een aantal speerpunten gericht de ontwikkeling van een nieuwe therapie te stimuleren. FAST omvat meer dan innovatief en translationeel onderzoek in kennisinstellingen, meer dan alleen het stimuleren van bedrijvigheid dan wel publiek private samenwerkingen of het inspelen op *unmet needs* van mensen met chronische ziekten. FAST biedt een geïntegreerde benadering waarin deze aspecten in samenhang worden geprogrammeerd. Dat maakt FAST tot een nieuw en inspirerend initiatief.

Door de gerichte inzet van voldoende financiële middelen kan er een beweging op gang worden gebracht die zichzelf versterkt, onder meer doordat buitenlandse bedrijven en investeerders worden aangetrokken. De aanwezigheid van het European Medicines Agency (EMA) in Nederland en het daarmee samenhangende Actieprogramma 'Nieuwe kansen voor topsector Life Sciences & Health' dragen hier eveneens aan bij.

Internationale voorbeelden

Therapieontwikkeling is een internationale aangelegenheid, al kunnen individuele landen met gerichte stimulering er wel in belangrijke mate richting aan geven. Zo heeft België met het Vlaams Instituut voor Biotechnologie (VIB) een significante impuls gegeven aan biotechnologisch onderzoek, ontwikkeling en bedrijvigheid. In het Verenigd Koninkrijk speelt op het gebied van therapieontwikkeling met name LifeArc (oorspronkelijk begonnen als MRC Technology) een prominente rol bij het ondersteunen van academische groepen, startups en publiek-private samenwerkingen. De ervaring die daar is opgedaan met verschillende vormen van financiering en partnering zijn een bron van inspiratie geweest voor de huidige FAST-plannen. Zo is het FAST-voorstel op het gebied van financiering (zie pagina 29) deels geënt op het drieluik dat LifeArc inzet: subsidies voor academische onderzoekers, ondersteuning en financiering voor publiek-private partnerships en een investeringsfonds in wording voor ondernemingen.
De belangrijkste conclusie die op grond van deze buitenlandse voorbeelden kan worden getrokken is dat de beste resultaten worden bereikt wanneer publieke middelen op het gebied van therapieontwikkeling in samenhang worden uitgezet. Focus en massa zijn belangrijke succesfactoren. Het adagium 'laat duizend bloemen bloeien' oogt sympathiek, maar beperkt de effectiviteit van de geïnvesteerde publieke middelen.

Voortbouwen op bestaande expertise

FAST is een nieuw initiatief en een impuls tot vernieuwing, maar maakt graag gebruik van het huidige systeem waar dit al prima functioneert. De Nederlandse kennisinstellingen moeten vooral doorgaan met hoogwaardig onderzoek, ondersteund door gerichte programmering vanuit ZonMw en NWO en initiatieven zoals de Nationale Wetenschapsagenda (NWA). De publiek-private samenwerkingen en partnerschappen die dankzij de Topsector LSH (Health~Holland) tot bloei zijn gekomen, vormen een onmisbare ingrediënt voor het toekomstige succes van FAST.

Invest-NL toont zich bereid om resources ter beschikking te stellen teneinde het aspect 'financiering' van FAST binnen het ontwikkelen van alternatieve geneesmiddelenontwikkelings- en verdienmodellen te optimaliseren. Invest-NL wil meedenken over de vraag hoe alternatieve financiering eruit kan zien en kan als 'honest broker' de regie nemen bij het opzetten van *blended finance* constructies waarbij zowel sprake is van marktfinanciering als van subsidies (uit nader te bepalen fondsen). Ook bestaat de mogelijkheid dat Invest-NL zelf kapitaal ter beschikking stelt, maar dit vereist een separate afweging op basis van de concrete uitwerking van plannen. Deze financiering kan ook helpen om producten te ontwikkelen die van grote meerwaarde zijn voor patiënten, maar commercieel minder aantrekkelijk dan nieuw ontwikkelde innovatieve geneesmiddelen, zoals het herintroduceren van bestaande weesgeneesmiddelen voor zeldzame ziekten.

Er zijn nog meer voorbeelden te noemen van initiatieven en organisaties die in beeld zijn als FAST-samenwerkingspartner die specifieke programma's invullen en uitvoeren. We denken bijvoorbeeld aan regionale initiatieven, aan landelijke organisaties zoals Health RI, TNO en Lygature en aan internationale initiatieven zoals EATRIS en Orphanet[4]. Om de duurzame beschikbaarheid van betaalbare behandelingen voor zeldzame ziekten te bevorderen zijn het platform Medicijn voor de Maatschappij[5] en de internationale samenwerkingen via European Joint Programme on Rare Diseases[6] belangrijk.

Nederland laat zien wat er kan

Door gericht te werken aan een aantal speerpunten, kunnen succesvolle voorbeelden tot bloei komen. Nederland vervult daardoor binnen Europa een bijzondere 'laboratoriumfunctie', die ten goede zal komen aan onze patiëntenzorg, wetenschap en economie. Timing is daarbij essentieel; als er nu een keuze wordt gemaakt voor het starten met FAST, kan het huidige gunstige momentum worden benut. Nederland kan dan (ook internationaal) kansen realiseren op het gebied van talentontwikkeling en economische activiteit en kan een aantal effectieve behandelingen betaalbaar bij de patiënt krijgen.

Opdracht

Op 17 oktober 2019 bood ZonMw een contourenschets voor FAST aan het kabinet aan, na een voorbereidingstraject dat al in 2018 van start ging. Daarin werd op hoofdlijnen geschetst waarom het van belang is dat de Nederlandse overheid investeert in een FAST-impuls, om op speerpunten het proces van therapieontwikkeling in Nederland op een samenhangende manier te stimuleren. Het FAST-initiatief dat in deze schets beschreven wordt, kwam tot stand dankzij een samenwerking tussen de departementen van EZK en VWS, samen met het topteam LSH en Health~Holland. Het sluit aan bij internationale ontwikkelingen zoals het Europese EATRIS en de EU-agenda[7].

Het kabinet reageerde positief op deze voorstellen en op 20 februari 2020 stuurde de minister van Medische Zorg en Sport mede namens de staatssecretaris van Economische zaken en Klimaat een brief aan ZonMw (zie bijlage 6) waarin hij uiteenzet hoe het FAST-initiatief volgens hem verder gebracht kan worden. Hij schrijft daarin onder meer: 'FAST beoogt (…) een nationaal platform te worden om – met de relevante stakeholders – innovatieve therapieontwikkeling te bevorderen. Het FAST-platform dient een structureel karakter te krijgen om zo continuïteit en samenhang van overheidsstimuleringen voor het LSH-ecosysteem te garanderen.'

[4] *www.orpha.net*

[5] *medicijnvoordemaatschappij.nl*

[6] *www.ejprarediseases.org*

[7] *https://ec.europa.eu/commission/sites/beta-political/files/mission-letter-stellakyriakides en.pdf*

De brief bevat ook een concrete opdracht aan ZonMw:
'Omdat ik de ambitie heb om innovatieve therapieontwikkeling verder te stimuleren in het publiek-private domein geef ik u de opdracht om een kwartiermaker te benoemen en te huisvesten die de contourenschets van FAST verder uit kan werken. Ik wil dat u in het voorstel uitwerkt wat een juiste partij is om FAST fysiek onder te brengen.'

ZonMw heeft aan deze opdracht gehoor gegeven. Gekozen is voor twee kwartiermakers, dr. Michel A. Dutrée en dr. Saco de Visser. In de opdrachtbrief wordt benoemd dat voormalig staatssecretaris Clémence Ross-Van Dorp, ambassadeur van het Actieprogramma 'Nieuwe kansen voor topsector Life Sciences en Health', tevens ambassadeur is van FAST.

Dit rapport is het verslag van de activiteiten van de kwartiermakers. Het geeft invulling aan de eerdergenoemde contourenschets, op basis van de opdrachtbrief van de minister en de input van diverse veldpartijen.

Leeswijzer

Dit rapport is als volgt opgebouwd: op deze inleiding volgt een korte schets van de achtergronden van FAST en het belang van samenhang en regie gedurende de kennisontwikkeling en de verschillende fasen van therapieontwikkeling in Nederland (hoofdstuk 1). Vervolgens wordt beschreven wat de kwartiermakers in de afgelopen maanden hebben gedaan en wat de uitkomsten zijn van de gesprekken die zij met uiteenlopende betrokkenen hebben gevoerd (hoofdstuk 2). Het derde hoofdstuk beantwoordt de vraag wat FAST inhoudelijk zou moeten doen en welke taken de nieuwe organisatie moet krijgen. In hoofdstuk 4 wordt geschetst welke organisatie het beste past bij deze taken en bij de opdracht van de ministeries. Hoofdstuk 5 bevat een korte schets van de stappen die volgen op de presentatie van dit rapport.

1.

FAST: kansen verzilveren

In dit hoofdstuk wordt, voortbouwend op het pleidooi voor FAST uit de contourenschets van 2019[8], duidelijk gemaakt waarom de FAST-impuls nodig is. Het enorme potentieel dat in Nederland bestaat op het gebied van biomedisch onderzoek en therapieontwikkeling zou nog veel meer maatschappelijke, economische en wetenschappelijke winst kunnen opleveren. Daarom is een gerichte substantiële impuls gewenst, waarbij aandacht voor onderlinge samenhang en afstemming, betaalbaarheid en beschikbaarheid hand in hand gaan. FAST moet voor de gekozen speerpunten het centrale aanspreekpunt worden dat dit mogelijk maakt.

Een sterke uitgangspositie

Met meer dan 2900 *life science* bedrijven, 7 universitair medische centra, een groot aantal andere kennisinstellingen en sterke topklinische centra heeft Nederland één van de meest geconcentreerde netwerken op het gebied van gezondheidsonderzoek ter wereld. Onze kennisinstellingen scoren hoog in de internationale wetenschap en zijn gewilde samenwerkingspartners in internationale consortia. Het opleidingsniveau van onze bevolking is hoog.

Onze gezondheidszorg is goed georganiseerd en van homogene kwaliteit. 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 biotech-sector gegroeid, die het vertrouwen geniet van risico-investeerders. Door deze factoren heeft Nederland misschien wel de beste uitgangspositie voor klinisch onderzoek in de wereld.

Nederlandse kennisinstellingen en bedrijven verzilveren al diverse 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 doordat het Europees Geneesmiddelen Agentschap (EMA) nu in Amsterdam gevestigd is. Dit kan als katalysator werken bij de verdere groei van kennisintensieve samenwerkingsverbanden tussen academische groepen, bedrijven, behandelaars en patiënten.

Stimuleren en barrières opheffen

Bij gericht beleid kan Nederland een vooraanstaande positie verwerven op het gebied van therapieontwikkeling. Economiehoogleraar Mariana Mazzucato laat in haar baanbrekende 'The Enterpreneurial State' zien hoe belangrijk het is dat de staat investeert in de grondslagen van innovaties, om een klimaat te scheppen waarin innovatieve bedrijven kunnen floreren. Met name het translationeel onderzoek in Nederland is toe aan een nieuwe impuls waarin optimale doorgeleiding naar hogere TRL-niveaus (zie kadertekst en figuur 1) en de principes van maatschappelijk verantwoord licentiëren (zie pagina 14) zijn ingebouwd.

Om de sterke positie van Nederland te verzilveren zijn extra inspanningen nodig, die met name gericht zijn op het ontsluiten van beschikbare kennis, expertise en netwerken. Verschillende spelers (patiënten, behandelaren, bedrijven, onderzoekers, beleidsmakers, financiers) zijn vaak onvoldoende op de hoogte van elkaars expertise en mogelijkheden. Kansrijke regionale ontwikkelingen kunnen versterkt worden door afstemming onderling en op landelijk niveau. Veldpartijen formuleren stevige ambities, maar gerichte en samenhangende financiering hiervoor ontbreekt vaak. Ondersteuning kan ook liggen in de signalering en agendering van knelpunten die bijvoorbeeld het gevolg zijn van wet- en regelgeving. Doordat FAST goed overzicht heeft op het gehele gebied en de verschillende fases van therapie-ontwikkeling, kan voor de speerpunten gericht worden ingezet op het wegnemen van onnodige barrières. Naast algemene verbeteringen die ten goede komen aan het proces van therapieontwikkeling, moeten kansrijke projecten op selecte prioritaire gebieden financieel kunnen worden ondersteund en gestimuleerd, naar hogere TRL-niveaus. Dat is wat FAST beoogt.

Om de kosten van therapieontwikkeling te verlagen en de onderzoekscapaciteit efficiënter in te zetten, zou gezocht moeten worden naar alternatieve methoden om al in een vroeg stadium vast te stellen welke nieuwe behandeling echt kansrijk is. FAST wil dat realiseren door ruimte te scheppen om te experimenteren met modellen en methodieken voor translationeel onderzoek en deze verder te ontwikkelen, zoals bijvoorbeeld *question based clinical development*[9] en het Critical Path Institute[10].

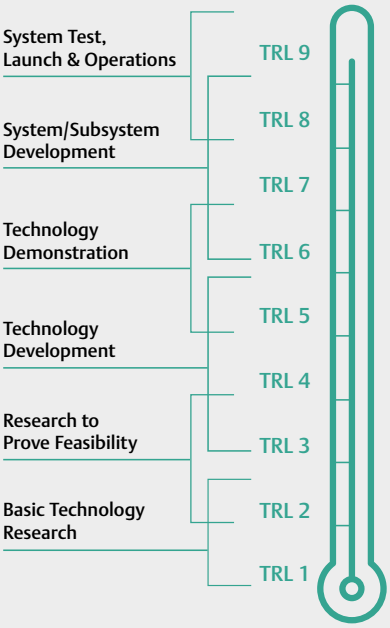
[8] *www.zonmw.nl/fileadmin/zonmw/afbeeldingen/Translationeel/Rapport_FAST_2019.pdf*

[9] *https://www.zonmw.nl/nl/actueel/nieuws/detail/item/question-based-clinical-development-en-future-affordable-and-sustainable-therapies/*

[10] *https://c-path.org/*

Technology readiness levels (TRL): van lab naar patiënt

Om zo exact mogelijk te kunnen beschrijven hoe ver een bepaalde technologie al ontwikkeld is, ontwikkelde de Amerikaanse ruimtevaartorganisatie NASA in de vorige eeuw de systematiek van Technology Readiness Levels (TRL). Deze wordt inmiddels breed toegepast, ook in de ontwikkeling van geneesmiddelen en medische technologie. De schaal gaat van TRL 1 (fundamenteel onderzoek, bijvoorbeeld in een laboratorium) tot TRL 9 (effectiviteit en veiligheid zijn bewezen in een operationele setting).



Figuur 1 TRL-niveaus

Maatschappelijk belang

In het missiegedreven innovatiebeleid van het kabinet staan voor het thema Gezondheid en Zorg ambitieuze missies geformuleerd voor de komende jaren. De overkoepelende missie betreft het verbeteren van de gezondheid en het terugdringen van (sociaaleconomische) gezondheidsverschillen. Bij de specifieke missies die moeten bijdragen aan het realiseren van dit doel, is de ontwikkeling van samenhangende kennis op het gebied van data, diagnostics, devices en drugs een essentieel onderdeel.

Therapieontwikkeling in brede zin is onmisbaar bij het streven om zorg zoveel mogelijk te verplaatsen naar de eerste lijn en de thuissituatie (missie 2), om de participatie van mensen met een chronische aandoening te vergroten (missie 3) en om de levenskwaliteit van mensen met dementie te bevorderen (missie 4).

De overheid kan innovaties stimuleren door het inzetten van stimulerende wet- en regelgeving en/of financierings-ondersteuning. Niet alle bruikbare medische behandelingen worden immers doorontwikkeld – soms stopt de ontwikkeling van een kansrijke innovatie om organisatorische of financiële redenen. Betaalbaarheid, beschikbaarheid en duurzaamheid van de ontwikkelde producten zijn ook 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.

Economische en wetenschappelijke voordelen

De Nederlandse biotech- farma- en medtech-sectoren zullen uiteraard profiteren van een gerichte impuls voor het versterken van therapieontwikkeling. Binnen de farmaceutische industrie is de trend dat grote bedrijven een deel van hun Research & Development (R&D) inkopen, bijvoorbeeld door samenwerkingen en/of overnames van (kleinere) innovatieve bedrijven.

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 kennis-instellingen 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 aanwezigheid van het EMA en de innovatiegolf bieden kansen voor verdere groei[11]. 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, uitgaande van de medische noodzaak die patiënten ervaren. 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.

Innovatiegolf: een nieuwe kijk op therapieontwikkeling

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 (4D: data, devices, diagnostics, drugs – waarbij die geneesmiddelen vaak geen kleine moleculen meer zijn, maar complexere interventies, waarbij soms bijvoorbeeld de grenzen met voeding vervagen).

[11] *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*

De ontwikkeling van nieuwe Advanced Therapy Medicinal Products[12] (ATMPs), waaronder sommige innovatieve vaccins, verloopt nu echter vaak vertraagd vanwege barrières in kennis, faciliteiten, regelgeving en financiering.

De huidige COVID-19 crisis laat goed zien dat soms razendsnelle nieuwe innovatieve vaccin -of therapieontwikkeling nodig zal zijn om toekomstige pandemieën vroegtijdig te kunnen aanpakken. Ook hier spelen vaak innovatieve nieuwe technologieën een rol en is een optimale kennis- en financieringsinfrastructuur essentieel. Voor academie en het bedrijfsleven in Nederland bieden deze 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. FAST is erop gericht om (met name binnen de speerpunten) de noodzakelijke verbindingen te leggen tussen onderzoekers, (startende) bedrijven, financiers, regulerende instanties en anderen.

Samenhang creëren

De ontwikkeling van nieuwe therapieën is kostbaar en kennis-intensief. Om de kans op slagen te optimaliseren, zal FAST (zeker binnen de speerpunten) overzicht scheppen over het gehele proces en bijdragen aan samenhang en wisselwerkingen tussen de verschillende fasen (fundamenteel onderzoek, translationeel onderzoek, bedrijfsmatige ontwikkeling, klinische toetsing, evaluatie na markttoelating).

Elke speler in het continuüm van laboratorium tot patiënt is vooral expert op haar of zijn eigen terrein. Dat kan het moeilijk maken om de resultaten van succesvol fundamenteel onderzoek door te geleiden naar een hoger TRL-niveau. Dat geldt bijvoorbeeld ook voor initiatieven op het gebied van proefdiervrij onderzoek. Als met alternatieve methodologieën zoals organoïden een kandidaatgeneesmiddel is ontwikkeld, blijkt vaak dat de huidige wet- en regelgeving toch nog dierproeven verplicht stelt. Het signaleren en wellicht in de toekomst opheffen van zulke knelpunten vraagt om een organisatie die overzicht heeft over het gehele ontwikkelproces.

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. Hoe meer FAST de ontwikkeling naar markt-introductie kan stimuleren, hoe meer er wordt bijgedragen aan een aanvaardbare prijs en snellere beschikbaarheid van innovaties voor de patiënt[13].

Therapieontwikkeling vindt met name plaats in de wisselwerking tussen onderzoekers en ondernemers, tussen bedrijven en academische groepen. Patiënten, behandelaars, verzekeraars en andere betrokkenen spelen een rol. Waar dit proces al optimaal verloopt, zal de FAST-impuls vooral financieel iets toevoegen. Er zijn echter ook legio voorbeelden waar de beloften vanuit het innovatieve onderzoek nog niet zijn ingelost 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 (inclusief reeds gealloceerde middelen) is daarbij van groot belang.

Wat wordt bedoeld met 'affordable' en 'sustainable'?

In het samenspel tussen kennisinstellingen en bedrijven op het gebied van therapieontwikkeling bestaat vaak relatief weinig aandacht voor de uiteindelijke impact van de ontwikkelde therapie op de zorg. Zeker in de beginfase ligt de nadruk veel meer op het bereiken van de volgende milestone van de geldschieter dan op kwesties als betaalbaarheid (affordability), duurzaamheid (sustainability) en beschikbaarheid. Doordat men is aangewezen op duur kapitaal, lopen de ontwikkelkosten vaak sterk op, waardoor de uiteindelijke kosten van de therapie moeten stijgen om de therapieontwikkeling rendabel te maken.

Een vergelijkbaar verhaal geldt voor de duurzame beschikbaarheid van de ontwikkelde therapie en voor het thema duurzaamheid in brede zin, inclusief ecologische en sociale aspecten van de productie en distributie en de bereidheid van bedrijven om gedurende langere tijd in Nederlandse faciliteiten te investeren. Op deze beide terreinen is veel voordeel te behalen, zonder dat dit ten koste gaat van een normale winstgevende bedrijfsvoering. Dat laatste mag hier ook benadrukt worden. Uit gesprekken die de kwartiermakers hadden in het Nederlandse bedrijfsleven bleek immers dat er daar veel frustratie leeft over de negatieve beeldvorming rond de farmaceutische industrie en een te eenzijdige gerichtheid op kosten.

Een begrip als 'affordable' wordt dan al snel uitgelegd als 'voor een dubbeltje op de eerste rang willen zitten'. Anderzijds zijn er groeperingen die menen dat het proces van therapieontwikkeling idealiter genationaliseerd zou moeten worden, ook al zijn er weinig voorbeelden van succesvolle ontwikkelingstrajecten buiten de markt om. FAST is er juist op gericht om de juiste balans te houden tussen innovatief ondernemerschap en toegankelijke, betaalbare zorg.

Lessen uit de COVID-19 crisis

De huidige COVID-19 crisis heeft onze samenleving geconfronteerd met haar sterke en zwakke kanten. Op het gebied van therapie- en vaccinontwikkeling moest nu geïmproviseerd worden om snel ontwikkelingen in gang te zetten. Dit was gemakkelijker geweest als er meer samenhang en overzicht had bestaan over de (vaak hoogwaardige) onderzoekers en innovatieve bedrijven in Nederland. Ook bleek het nog niet eenvoudig om voldoende samenhang te

[12] ATMP is de verzamelnaam voor innovatieve en vaak complexe behandelingen zoals gentherapie en (stam)celtherapie. Veel behandelingen uit de regeneratieve geneeskunde vallen in deze categorie. Voor deze behandelingen gelden aparte regels op het gebied van klinisch onderzoek, markttoelating en toepassing.

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

creëren in de verschillende inspanningen op het gebied van therapie- en vaccinontwikkeling en daarbij rekening te houden met internationale ontwikkelingen. Voor snelle vaccin -of therapie-ontwikkeling is een optimale kennis- en financieringsinfrastructuur onmisbaar. Er is een structuur nodig die als aanspreekpunt functioneert, zowel voor de overheid als voor bedrijfsleven en academie. FAST zou (binnen de gekozen speerpunten) zo'n structuur kunnen bieden, zodat alle andere betrokkenen hun taken effectiever en efficiënter kunnen verrichten.

Daarbij dient FAST aandacht te hebben voor de lokale situatie, zowel economisch als wetenschappelijk. Het is immers niet de bedoeling dat Nederlandse subsidiegelden massaal weglekken naar buitenlandse bedrijven zonder dat daar iets tegenover staat, maar dat FAST economische activiteit op eigen bodem stimuleert. Hoe dit beginsel precies vorm moet krijgen, zal een belangrijke opdracht voor FAST zijn. Daarbij kan voortgebouwd worden op de gedachtenvorming rond maatschappelijk verantwoord licentiëren[14] .

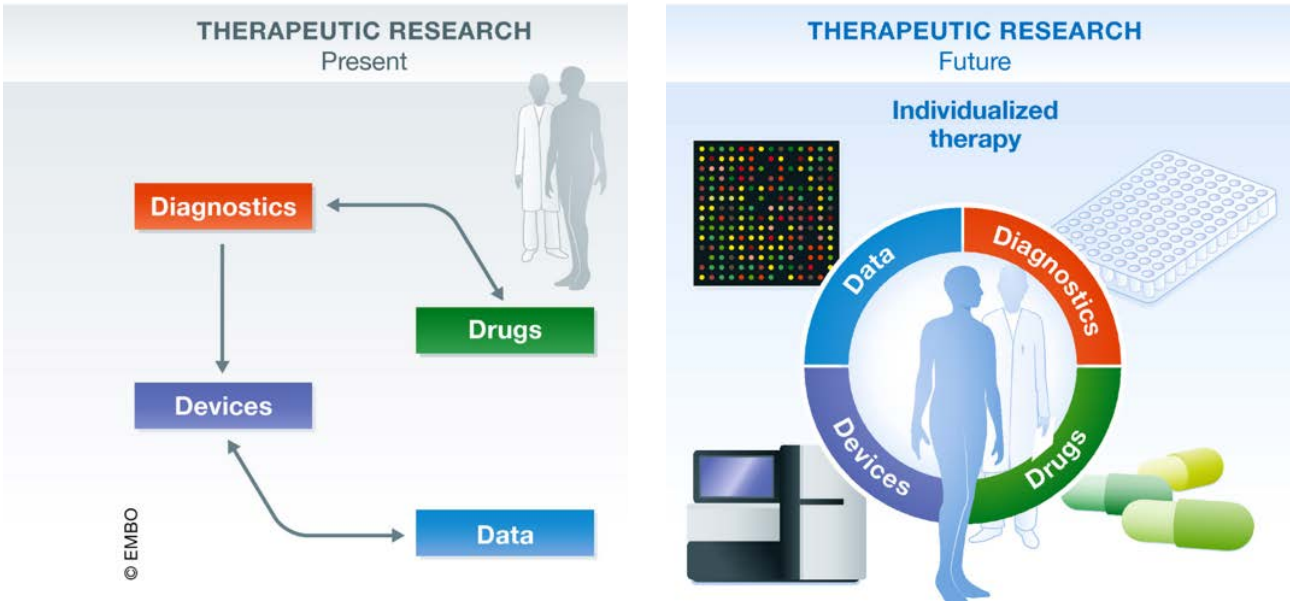
Maatschappelijk Verantwoord Licentiëren

Het onderwerp dure geneesmiddelen staat al geruime tijd hoog op de politieke agenda. Zoals elders in dit rapport wordt uitgelegd, hangen de hoge kosten van nieuwe middelen voor een belangrijk deel samen met de kosten in het ontwikkelingstraject, waaronder *cost of failure* en *cost of capital*. FAST beoogt op deze terreinen een bijdrage te leveren, met name binnen de speerpunten waar de financiële impuls wordt gegeven.

Soms lijkt er echter sprake van een prijsstelling die niet in verhouding staat tot de reële ontwikkelkosten. Het zou dan ook goed zijn als er betere juridische waarborgen zijn dat met Nederlands belastinggeld ontwikkelde kennis (intellectueel eigendom) op een maatschappelijk verantwoorde manier wordt toegepast. De Nederlandse Federatie van umc's (NFU) en de Vereniging van Samenwerkende Nederlandse Universiteiten (VSNU) hebben daarom afspraken gemaakt over Maatschappelijk Verantwoord Licentiëren (MVL) en een toolkit ontwikkeld om bedrijven en kennistransferorganisaties te ondersteunen bij het maken van afspraken.

Het blijft moeilijk om goede afspraken te maken, omdat de overdracht van intellectueel eigendom in zo'n vroeg stadium van de therapieontwikkeling plaatsvindt. Zoals staatssecretaris Keijzer uitlegt in een recente Kamerbrief, wordt het moeilijk om fondsen te vinden voor de vroege ontwikkeling van een geneesmiddel wanneer daaraan al te strikte voorwaarden verbonden zijn. In die fase is er immers nog een hoge afbreukkans.

FAST kan hier bijdragen aan het vinden van oplossingen, doordat een langer traject van therapieontwikkeling overzien kan worden en de bijbehorende instrumenten gericht kunnen worden ingezet. In het kader van de ontwikkeling van alternatieve financieringsmodellen kan daarom extra aandacht voor de besteed aan maatschappelijke waarborgen. Deze kunnen zich ook richten op zaken als transparantie, het registreren van onderzoeksgegevens en het bijhouden van registries. Een belangrijke kanttekening hierbij blijft overigens dat therapieontwikkeling vaak in een internationale context plaatsvindt, waardoor het lastig is om vanuit Nederland eisen te stellen. Maatschappelijk Verantwoord Licentiëren is dan ook bij uitstek een thema dat vraagt om een internationale aanpak.



Figuur 2 - Verschillende werelden komen bij elkaar in de 4D-benadering. (Uit: "4 Ds in health research—working together toward rapid precision medicine', Ellen Niederberger e.a., EMBO Mol Med (2019)11).

[14] *Kamerbrief over NFU-rapport over Maatschappelijk Verantwoord Licentiëren, 29 mei 2019. Zie ook de inmiddels ontwikkelde toolkit https://www.nfu.nl/actueel/toolkit-maatschappelijk-verantwoord-licentieren*

Medtech, 4D en de toekomst

Het ministerie van VWS werkt aan haar visie[15] rondom Medtech. Vanuit het perspectief van kwaliteit, toegankelijkheid en betaalbaarheid wil VWS dat alle betrokken partijen (van innovator tot eindgebruiker) goed inspelen op technologische ontwikkelingen en vraagstukken veel proactiever en meer in samenhang oppakken. *Proactief*, door eindgebruikers al vanaf het begin bij de ontwikkeling van een product te betrekken. *Meer in samenhang*, door alle belanghebbenden te betrekken bij de verschillende vraagstukken die spelen op de lange weg van idee naar markt, pakket en zorgproces. De insteek van FAST als impuls voor innovatieve therapieontwikkeling sluit goed aan bij deze visie.

Mede dankzij de actieve inbreng van patiënten is de behandeling van ziekten aan het veranderen van een 'one size fits all'-benadering naar precisiegeneeskunde *(personalised medicine)*. Om de behandeling beter af te stemmen op de individuele kenmerken, wensen en het levensritme van de patiënt wordt gebruik gemaakt van de 4D-benadering[16] (zie figuur 2), waarin het geneesmiddel *(drug)* dankzij gerichte diagnostiek wordt ingezet op grond van data, waarbij ook vaak gebruik wordt gemaakt van hulpmiddelen *(devices)*. Ook worden in toenemende mate geavanceerde computermodellen ingezet, zoals predictive personalised computational models *(virtual physiological humans[17])*.

De grens tussen farma en medtech (medische technologie) begint steeds meer te vervagen. Dat geldt al zeker voor technieken zoals nanotechnologie, die langzamerhand ook de kliniek beginnen te bereiken. De vervagende grens tussen farma, medtech en data vraagt om verbindingen tussen sectoren die tot dusver relatief weinig met elkaar te maken hadden. FAST wil deze verbindingen op de speerpunten bevorderen door kennis te ontsluiten, experts uit verschillende sectoren met elkaar in contact te brengen en door via de programmering van publieke middelen de doorgeleiding en het leggen van dwarsverbanden te stimuleren.

Voor patiënten door patiënten

Patiëntenparticipatie is essentieel in hedendaagse therapieontwikkeling. De deelname en inbreng van patiënten en burgers vindt binnen FAST plaats op verschillende onderdelen. In de agendering en prioritering van de activiteiten binnen FAST spelen de behoeften en wensen van patiënten en burgers een belangrijke rol. Deze prioritering moet op een wetenschappelijk verantwoorde en transparante wijze worden vormgegeven, samen met relevante stakeholders. Patiënten en burgers dienen te worden ondersteund om een volwaardige bijdrage te kunnen leveren.

Patiëntenvertegenwoordigers zijn op specifieke terreinen vaak goed op de hoogte van de betrokken behandelaren en onderzoekers van een bepaalde (wees)ziekte. Zij kunnen zo bijdragen aan het bouwen en ontsluiten van het netwerk. Binnen de FAST-loketfunctie (zie hoofdstuk 4) wordt ruimte gemaakt voor ondersteuning van patiënten(vertegenwoordigers) die zelf (willen) werken aan therapieontwikkeling en daar ondersteuning bij zoeken. In de ontwerpfase van klinische trials worden patiënten betrokken bij de invulling van het studiedesign en met name het bepalen van de relevante uitkomstmaten en de haalbaarheid. Dit bevordert niet alleen de relevantie van uitkomsten voor patiënten en behandelaars, maar kan ook bijdragen aan het voorkómen van inclusieproblemen en andere bekende obstakels bij de uitvoering van klinische studies.

FAST zal daartoe onder andere aansluiting zoeken bij het ZonMw-programma Medische Producten: Nieuw en Nodig (MPNN) dat samenwerkingsverbanden tussen patiënten, patiëntenorganisaties en Nederlandse onderzoeksgroepen stimuleert en daar zorgverleners en het bedrijfsleven bij betrekt. Het programma versterkt de eigen regie van patiënten en patientenorganisaties rond de ontwikkeling van nieuwe hulpmiddelen, geneesmiddelen en ATMP's en bevordert dat onderzoekers, zorgverleners en bedrijven inzicht krijgen in de onderzoeksbehoeften van patiënten.

De European Patients' Academy on Therapeutic Innovation (EUPATI) brengt patiënten(vertegenwoordigers) op het juiste kennis- en vaardigheidsniveau om volwaardig te participeren als gesprekspartners. EUPATI heeft sinds vorig jaar ook een Nederlandse tak[18]. Dergelijke organisaties, samen met o.a. de Patiëntenfederatie Nederland, VSOP en gespecialiseerde patiëntenorganisaties, zijn essentiële partners van FAST om de rol van patiënten in therapieontwikkeling te versterken.

[15] *https://www.rijksoverheid.nl/documenten/kamerstukken/2019/04/26/kamerbrief-over-visie-op-medische-technologie*

[16] *'4 Ds in health research—working together toward rapid precision medicine', Ellen Niederberger e.a., EMBO Mol Med (2019)11:e10917 https://doi.org/10.15252/emmm.201910917*

[17] *https://www.knmg.nl/actualiteit-opinie/nieuws/nieuwsbericht/towards-virtual-physiological-humans-.htm*

[18] *https://nl.eupati.eu/*

Speerpunten

Voor de noodzakelijke focus en massa richt FAST zich op de ondersteuning van enkele centrale thema's. FAST wil onderzoek en ontwikkeling (R&D) stimuleren op de volgende speerpunten (zie verder hoofdstuk 3):

- Regeneratieve geneeskunde
- Personalised medicine
- Behandelingen voor zeldzame aandoeningen

Bij de uiteindelijke prioritering zal worden ingespeeld op actuele ontwikkelingen en politieke keuzes. Het gaat hierbij met name om lange termijn strategische keuzes zoals de missies van het ministerie van VWS en de Kennis- en Innovatieagenda (KIA) Gezondheid en Zorg, waarin gekozen wordt voor het terugdringen van chronische aandoeningen en de gevolgen van dementie.

De FAST-prioriteiten zullen ook worden geijkt op de prioriteiten uit het Actieprogramma 'Nieuwe kansen voor Topsector Life Sciences & Health'. Daarnaast is het belangrijk om te kunnen inspelen op ingrijpende gebeurtenissen, zoals de huidige COVID-19 crisis, waardoor therapie- en vaccinontwikkeling tegen deze infectie een hoge prioriteit hebben gekregen. Na de start van FAST zullen er binnen de speerpunten gerichte keuzes worden gemaakt.

Taken van FAST

Therapieontwikkeling omvat activiteiten op uiteenlopende terreinen, van academie tot bedrijfsleven en zorg. Om de synergie tussen de betrokken actoren te bevorderen, is het cruciaal om op hoofdlijnen inhoudelijk en financieel ondersteuning te bieden, met oog voor het gehele proces, van laboratorium tot patiënt. FAST richt zich daarbij op de drie genoemde speerpunten (regeneratieve geneeskunde, personalised medicine en zeldzame aandoeningen).

Concreet houdt dit in dat FAST zich voor deze speerpunten richt op de volgende taken:

- Het ontsluiten van informatie en het bijeenbrengen van relevante partijen;
- Het signaleren en adresseren van knelpunten;
- Het versterken van de infrastructuur (incl. incubatorfaciliteiten);
- Het inzetten, faciliteren en regisseren van op elkaar aansluitende financiering ('doorfinancieren');
- Het faciliteren van onderwijs op het gebied van therapieontwikkeling, op het grensvlak tussen wetenschap en bedrijfsleven.

Uiteraard zal de FAST-strategie worden geijkt aan de uitkomsten van het Actieprogramma 'Nieuwe kansen voor topsector Life Sciences en Health' en overige input uit het veld en waar mogelijk en gewenst inspelen op de maatschappelijke behoefte van het moment.

Voortbouwen op kracht

FAST is een extra impuls, die aansluit op een sterke academische sector en een krachtig bedrijfsleven. Het bidboek van PharmInvestHolland[19] 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 de topsectoren[20].

Het academische fundament onder de R&D-programma's is al van hoge kwaliteit, al is wel hernieuwde programmatische financiering door ZonMw nodig, waarbij FAST mogelijkheden biedt voor sturing. 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[21].

Een nieuwe impuls biedt mogelijkheden om de daarin benoemde belemmeringen aan te pakken en door de ontwikkelfases heen publieke middelen in samenhang uit te laten zetten. Tegelijkertijd moet worden geconstateerd dat therapie-ontwikkeling 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. Dat is wat FAST wil doen, in aanvulling op het bestaande landschap en in nauwe samenwerking met partners als Health~Holland, ZonMw en Invest-NL.

[19] *https://pharminvestholland.nl/*

[20] *https://www.topsectoren.nl/human-capital*

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

2.

Het kwartiermakersproces

In dit hoofdstuk staat de oogst van de kwartiermakers centraal. Veel gesprekspartners bevestigden het beeld dat er weliswaar sprake is van een gunstige uitgangspositie van Nederland, maar ook van een te hoge mate van versnippering. Er bestaat in het veld onder andere behoefte aan ruimere financieringsmogelijkheden, een langere looptijd dan gebruikelijk en meer regie.

Inleiding

ZonMw heeft begin 2019 mede in het kader van de komst van het EMA naar Nederland en de wens van de overheid om meer te doen rond het thema innovatieve therapieontwikkeling het initiatief genomen om het voorstel voor FAST uit te werken, in overleg met diverse betrokkenen. Dit leidde tot de contourenschets Future Affordable and Sustainable Therapies, die op 7 oktober 2019 werd aangeboden aan het kabinet.

Eveneens in het kader van de komst van het EMA werd vanuit de ministeries van VWS en EZK het Actieprogramma 'Nieuwe kansen voor topsector Life Sciences en Health' ingesteld. Dit programma, met een looptijd van drie jaar, krijgt momenteel vorm onder leiding van voormalig VWS-staatssecretaris Clémence Ross-van Dorp, die per 1 januari 2020 is aangesteld als ambassadeur van dit LSH-Actieprogramma. FAST is een belangrijke pijler in dit Actieprogramma en mevrouw Ross-van Dorp is ook ambassadeur van FAST.

In een brief aan de Tweede Kamer[22] en een opdrachtbrief aan ZonMw (bijlage 6) werd vervolgens aangekondigd dat het FAST-initiatief verder uitgewerkt zou worden door een kwartiermaker, die in het derde kwartaal van 2020 zou rapporteren aan de betrokken departementen. Uit deze brieven werd ook duidelijk dat het de ambitie van de minister was om de feitelijke opbouw van FAST te laten starten in het eerste kwartaal van 2021. Dr. Michel A. Dutrée en Dr. Saco de Visser werden benoemd tot kwartiermakers.

Kwartiermaken in tijden van corona

De beide kwartiermakers begonnen in maart met een ronde van gesprekken met meer dan 80 personen uit een breed scala aan organisaties (zie bijlage 3) waarin zij de inzichten van relevante stakeholders verzamelden. Zij begonnen hun gesprekken met LSH-ambassadeur Ross-van Dorp, het Topteam LSH en topambtenaren van de departementen van VWS en EZK. Kort na de start van hun activiteiten brak de COVID-19 crisis uit.

Hoewel dit uiteraard voor de nodige praktische beperkingen zorgde, maakte deze crisis ook het belang duidelijk van slagvaardige en innovatieve therapieontwikkeling in Nederland vanuit een geïntegreerde 4D-aanpak: Drugs, Diagnostics, Devices & Data. Regie op therapieontwikkeling is een evident publiek thema geworden en diverse initiatieven zijn vanuit verschillende perspectieven met publieke middelen ondersteund of spontaan ontstaan. Een belangrijk deel van de vooruitgang die inmiddels geboekt is in de (intensieve) zorg voor patiënten met COVID-19 is te danken aan het systematisch verzamelen en uitwisselen van betrouwbare klinische data. Het is te hopen dat de verdere ontwikkeling van behandelingen en preventieve (vaccinatie-) strategieën leidt tot een spoedig einde aan de crisis.

Als FAST nu al zou bestaan, zou de overheid een helder aanspreekpunt hebben, met gedetailleerd inzicht in de kennis en mogelijkheden van verschillende spelers in bedrijfsleven en academie op het gebied van therapieontwikkeling. Dat maakt snel schakelen mogelijk, met minimaal verlies aan tijd en middelen.

Oogst uit de gesprekken

De kwartiermakers zijn dankbaar dat zij ondanks de COVID-19 crisis alle relevante stakeholders te spreken kregen en zelfs een fysieke bijeenkomst konden beleggen. Er is volgens de kwartiermakers zeker sprake van enthousiasme voor een nieuwe impuls voor therapieontwikkeling in het veld, van patiënten en behandelaars tot academische onderzoekers en (startende) bedrijven. Sommige gesprekspartners hadden kritische vragen bij FAST, of vroegen zich af wat de impact ervan zal zijn op hun taakuitvoering en prioriteiten.

De oogst uit de gesprekken is verwerkt in de plannen voor FAST, zoals die in de volgende hoofdstukken beschreven worden. We benoemen hier enkele aspecten, met name gesignaleerde knelpunten in de huidige situatie en reacties op de FAST-plannen.

Bestaande knelpunten

Veel partijen ervaren het huidige landschap en publieke financiering van de innovatieve therapieontwikkeling als versnipperd, ondanks alle pogingen tot integratie. Bij veel initiatieven ontbreekt het aan duidelijke geïntegreerde keuzes en regie. Bovendien komt het nog steeds voor dat initiatieven in hetzelfde gebied niet van elkaars bestaan op de hoogte zijn. Dit leidt tot inefficiëntie en verspilling.

Publieke en private gelden voor research en ontwikkeling (R&D) kunnen veel effectiever worden ingezet wanneer informatie over kennisinstellingen, bedrijven, infrastructuur en financiering goed ontsloten is. Zo kunnen ook regionale en landelijke initiatieven beter aan elkaar worden gekoppeld, waardoor Nederland internationaal duidelijker op de kaart wordt gezet en onze concurrentiepositie wordt versterkt. En kan bijvoorbeeld samen met HealthRI, die een belangrijk deel van de Nederlandse infrastructuur voor translationeel onderzoek en ontwikkeling vormt, een breder georganiseerde Nederlandse vestiging worden opgezet voor de Europese infrastructuur EATRIS (zie ook kadertekst op pagina 24).

Een belangrijk aandachtspunt is de continuïteit in het gehele proces van therapieontwikkeling. Nu worden, vaak met overheidsfinanciering, wel belangrijke stappen gezet, maar doorgeleiding naar de patiënt is vaak onvoldoende geborgd. Het is daarom van belang

[22] *https://www.tweedekamer.nl/kamerstukken/brieven_regering/detail?id=2020Z03586&did=2020D07441 Brief dd 20 februari 2020, nr 29477-649*

dat FAST zich richt op het gehele traject van therapieontwikkeling, van kennisinstelling tot bedrijf tot klinische toepassing. Het beeld dat bij sommigen nog leefde, dat FAST er vooral zou zijn voor de academie, moet dan ook grondig rechtgezet worden.

Bij bestaande initiatieven ligt de nadruk vaak op 'spannende' innovaties die goed scoren in de media en minder op moeilijke onderwerpen die voor veel patiënten een verschil kunnen maken. Zo kunnen relatief simpele aanpassingen zoals vertraagde afgifte van een geneesmiddel de levenskwaliteit van patiënten sterk vergroten. Ook het bevorderen van de beschikbaarheid van relatief eenvoudige middelen door productie in eigen land valt in deze categorie.

Een ander belangrijk punt betrof de bureaucratie rond verantwoording. Als een kennisinstelling, bedrijf of publiek-privaat samenwerkingsverband erin slaagt om subsidies te verwerven, lopen zij aan tegen het feit dat iedere publieke geldstroom zijn eigen verantwoordingsmechanisme heeft, met dito tijdtabel. FAST kan daarin orde brengen en de administratieve lasten verlichten door bij de programmering te sturen op onderlinge afstemming tussen programma's. Bureaucratie is ook een bekende bron van ergernis in al het onderzoek met mensen. Iedereen ziet het belang van zorgvuldigheid en ethiek, maar de huidige regelgeving leidt tot kostenverslindende bureaucratie met te weinig meerwaarde.

Kritische vragen bij het FAST-concept

Gesprekspartners van de kwartiermakers hadden soms ook twijfels, zorgen en kritische vragen bij het FAST-concept. We noemen hier enkele belangrijke punten en plaatsen deze in de context van de plannen. Andere kritiekpunten zijn al verwerkt in de huidige voorstellen.

- **Doet FAST wel recht aan de cruciale rol van bedrijven in de therapieontwikkeling?**
  Bedrijven zijn en blijven onmisbaar bij de ontwikkeling van effectieve betaalbare therapieën. Daarom wil FAST de publieke-private samenwerking een stevige impuls geven en (startende) bedrijven ook op andere manieren ondersteunen op het gebied van therapieontwikkeling binnen de speerpunten, bijvoorbeeld door knelpunten aan te pakken.

- **Betekent zo'n nieuwe organisatie niet meer 'bestuurlijke drukte'?**
  Dat is een belangrijk punt van aandacht. Daarom wordt (zie hoofdstuk 4) gekozen voor een kleine organisatie, zonder een zware bestuurlijke structuur. Het grootste deel van het werk wordt uiteindelijk uitgevoerd binnen de bestaande governance-structuren.

- **Hoe verhoudt FAST zich tot bestaande initiatieven?**
  Het huidige FAST-voorstel gaat er in principe vanuit dat alle bestaande initiatieven die raken aan therapieontwikkeling, in hun huidige vorm wordt voortgezet. Op het terrein van deze reeds toegezegde gelden verandert dus niets. Wel is het essentieel dat verlenging en vernieuwing van programma's op het gebied van therapieontwikkeling op de speerpunten in de toekomst via FAST verloopt.

- **Wordt het weer zo'n programma met een korte looptijd?**
  In de huidige onderzoeksfinanciering hebben de meeste projecten een looptijd van hooguit vier jaar. Ook veel programma's hebben een relatief beperkte looptijd. Daardoor is het moeilijk om onderzoeksresultaten dichter naar concrete toepassing te brengen (naar een hoger TRL-niveau). Om dit te ondervangen zou FAST dan ook een looptijd van tenminste 10 jaar moeten krijgen.

- **Maakt FAST wel voldoende gebruik van de ervaring en de infrastructuur in bestaande instituties?**
  Zodra FAST aan de slag kan, zal de programmering verlopen via Health~Holland, ZonMw en Invest-NL, die op hun beurt weer gebruik maken van het bestaande instrumentarium en van hun kennis en expertise bij het ontwikkelen van nieuwe instrumenten en de onderlinge aansluitingen. De toegevoegde waarde van FAST is dat het overzicht en de aansluitingen beter geregeld zijn, zodat het traject van laboratorium naar patiënt soepeler en kansrijker verloopt.

- **Is er voldoende ruimte voor nieuwe initiatieven en exploratie, of wordt uitsluitend strakke regie gevoerd?**
  Het is niet de bedoeling om alles dicht te timmeren. Zeker in de vroege fases van ontwikkeling is er ruimte nodig voor flexibiliteit, creativiteit en experimenteerruimte. Er moet enige ruimte ('Forschungsgeld') zijn om een veelbelovende nieuwe vondst te exploreren.

- **Wordt de rol van medische technologie voldoende meegenomen?**
  Ja, binnen de gerichte financiering en programmering in het kader van FAST zal zeker ook de medische technologie (medtech) betrokken worden. De bestaande samenwerkingen op dit gebied kunnen versterkt worden doordat de onderlinge samenhang wordt bevorderd. Medtech is immers steeds vaker onderdeel van nieuwe innovatieve therapieën.

- **Legt FAST niet te veel nadruk op de bedrijven en blijft er wel voldoende ruimte voor translationele projecten in een academische context?**
  De nadruk ligt bij FAST op het proces waarin een ontdekking naar een hoger TRL-niveau, dus dichter naar de patiënt gebracht wordt. Dat proces begint met gedegen translationele projecten, waarbij liefst al in een vroeg stadium nagedacht wordt over de vervolgstappen en een goede aansluiting wordt gecreëerd met de latere bedrijfsmatige doorontwikkeling. In dat geheel zijn academisch onderzoek, publiek-private samenwerking en bedrijfsmatige ontwikkeling alle drie essentieel. Naast de klassieke subsidie voor promovendi moet er ook ruimte komen voor het aantrekken van pas gepromoveerde onderzoekers (postdocs). FAST zou moeten stimuleren dat postdocs (ook) in bedrijven als onderzoeker aan de slag kunnen, zodat de brug tussen academie en bedrijfsleven versterkt wordt.

- **Wat voegt FAST toe aan de bestaande mogelijkheden voor publiek-private samenwerking?**
  De programmering die onder de vlag van FAST zal worden uitgevoerd, onder meer door Health~Holland, zal zeker ook gebruik kunnen maken van (bestaande of nieuwe) publiek-private samenwerkingsprojecten. Het palet van mogelijkheden binnen FAST zal echter breder zijn, van projecten die geheel in een academische context plaatsvinden tot en met puur private projecten. Maatwerk is hierbij van belang, aansluitend bij een visie op het gehele proces van therapieontwikkeling.

- **Wanneer volgt concretisering van de speerpunten?**
  Een van de eerste taken voor de FAST organisatie wordt het uitzetten van programmeeropdrachten aan de partners die de programmering kunnen verzorgen (met name ZonMw, Health~Holland en Invest-NL). FAST zal in overleg met hen zorgen dat de doorgeleiding naar hogere TRL-niveaus optimaal wordt ondersteund. Bij snelle besluitvorming kan hier dus begin volgend jaar een begin mee gemaakt worden.

- **Heeft het veld nog iets te zeggen over wat FAST gaat doen met de nieuwe impuls?**
  Ja, een duidelijke programmeerstap zal dus nog volgen, waarbij uiteraard aandacht moet zijn voor de inhoudelijke inbreng van veldpartijen.

- **Gaat dit werkelijk over extra geld voor therapieontwikkeling, of is het een 'sigaar uit eigen doos'?**
  De gedachte achter de FAST-impuls is dat er ook daadwerkelijk nieuw geld geïnvesteerd wordt. Anders is er immers geen sprake van een nieuwe impuls. Zoals in hoofdstuk 5 beschreven wordt, zal FAST in drie jaar geleidelijk groeien naar de beoogde omvang.

3.

Wat FAST moet doen

Inleiding

FAST zal zich binnen de drie speerpunten (regeneratieve geneeskunde, personalised medicine, zeldzame aandoeningen) richten op het scheppen van gunstige randvoorwaarden voor therapieontwikkeling in Nederland en het samenhangend investeren in kansrijke ontwikkelingen, 'van laboratorium naar patiënt'. De taken voor de nieuwe organisatie zijn zoals gezegd:

1. Het versterken van de infrastructuur (incl. *incubatorfaciliteiten*);
2. Het ontsluiten van informatie en het bijeenbrengen van relevante partijen;
3. Het signaleren en adresseren van knelpunten;
4. Het inzetten, faciliteren en regisseren van op elkaar aansluitende financiering ('doorfinancieren');
5. Het faciliteren van onderwijs op het gebied van therapieontwikkeling, op het grensvlak tussen wetenschap en bedrijfsleven.

Met name bij punt 4 zal FAST een scherpere focus moeten kiezen om de middelen gericht in te zetten. Dit gebeurt op de speerpunten regeneratieve geneeskunde, personalised medicine en zeldzame aandoeningen. In dit hoofdstuk worden allereerst de drie speerpunten nader toegelicht. Hier ligt inhoudelijk het accent voor de FAST-activiteiten. Vervolgens komen de bovengenoemde taken aan de orde.

Speerpunten

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

- Regeneratieve geneeskunde;
- Personalised medicine;
- Behandelingen voor zeldzame aandoeningen

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 umc's en de technische universiteiten. De toegevoegde waarde van FAST is dat de nadruk komt te liggen op een beweging naar hogere TRL-niveaus en dat daar ook de bijbehorende financiële middelen voor beschikbaar komen. De bestaande consortia kunnen dus profiteren van een FAST-impuls.
Op alle drie deze terreinen spelen niet alleen technische en biomedische vragen, maar ook belangrijke thema's op het gebied van ethiek, regelgeving en maatschappelijke impact.

Regeneratieve geneeskunde

Dit relatief nieuwe vakgebied houdt 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, waarbij, waarbij umc's en technische unversiteiten gezamenlijk optrekken. Initiatieven als RegMed XB[23] 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. Betaalbaarheid *(affordability)* en duurzame beschikbaarheid *(sustainability)* zijn daarbij belangrijke punten van aandacht. 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.

Nauw samenhangend met de regeneratieve geneeskunde, en onderdeel van dezelfde NWA-route, is ontwikkeling van zogeheten organoïden en *organs-on-a-chip*. Zij kunnen gebruikt worden om in het individuele geval de gevoeligheid voor een bepaald geneesmiddel te bepalen en om nieuwe geneesmiddelen te ontwikkelen.

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 ATMP's en aanpalende technologie.

Personalised medicine

Bij personalised (of precision) medicine gaat het om de optimale inzet van behandelingen aan de hand van genetica, klinische diagnostiek en andere data. Doel is te voorspellen welke individuele patiënt baat zal hebben bij welke aanpak van zijn of haar ziekte, waarbij ook de kans op bijwerkingen geminimaliseerd wordt. Infrastructuren op het gebied van data zijn een essentiële voorwaarde voor de ontwikkeling van personalised medicine. HealthRI heeft op dat gebied al veel waardevolle ontwikkelingen in gang gezet, waarvan FAST gebruik kan maken en waarin FAST verder dient te investeren. Ook ontwikkelingen op technologisch gebied, zoals computermodellen om de reactie van de individuele patiënt te voorspellen zullen binnen dit speerpunt aandacht krijgen.

Uiteindelijk zullen voor veel nieuwe behandelingen bijbehorende ondersteunende diagnostische tests *(companion diagnostics)* ontwikkeld worden. Nu is nog niet goed te overzien welke gevolgen dit zal hebben voor de klinische praktijk 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 kan op dat punt een pioniersrol vervullen. Nu vindt aanvullend onderzoek vaak pas na marktintroductie plaats, bijvoorbeeld binnen het programma Goed Gebruik Geneesmiddelen van ZonMw.

[23] *https://www.regmedxb.com*

Zeldzame aandoeningen

Als iemand een ziekte heeft is dit vaak een zeldzame ziekte. Paradoxalerwijs is het dus zo dat zeldzame ziekten vaak voorkomen. 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 door generieke preparaten of *biosimilars*, zoals bij middelen voor veelvoorkomende aandoeningen.

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 bestaat in ons land daardoor al veel kennis rond zeldzame aandoeningen en hun (moleculaire) diagnostiek. Binnen deze context moet het mogelijk zijn om met beperkte investeringen verschil te maken voor enkele zeldzame aandoeningen.

Er kunnen oplossingen worden gegenereerd voor sommige beschikbaarheidsproblemen. Soms is een bestaand, reeds geregistreerd geneesmiddel een effectieve behandeling voor een zeldzame aandoening. FAST kan stimuleren dat in zulke gevallen registratie plaatsvindt voor de nieuwe toepassing en zo voorkomen dat middelen tegen maatschappelijk onaanvaardbare prijzen als weesgeneesmiddel worden ‘doorontwikkeld’. Het ontwikkelrisico is vaak beperkt omdat er al ervaring bestaat met deze middelen, zodat de inspanningen en kosten beperkt kunnen blijven. Dergelijke experimenten leveren belangrijke inzichten op hoe het bestaande systeem toegankelijker en efficiënter gemaakt kan worden, ook voor kleinere bedrijven en (academische) instellingen, zoals bepleit wordt in de motie Veldman[24].
Zulke benaderingen, waar ook alternatieve ontwikkelings-modellen een rol in kunnen spelen, zullen een exemplarische en signalerende functie hebben. Zowel binnen Nederland als internationaal kan FAST met relatief geringe investeringen werken aan een beter functionerende markt voor geneesmiddelen bij zeldzame ziekten, met een duidelijke plaats voor generieke preparaten en *biosimilars.*

Eindelijk doorslapen dankzij innovatie op weesgeneesmiddel

Ouders van kinderen met een bepaalde zeldzame aandoening zijn blij dat er nu eindelijk een geneesmiddel bestaat. Het is een betaalbaar middel voor een andere aandoening dat al uit patent is, maar het heeft één groot nadeel: het moet vier keer per dag worden toegediend om effectief te zijn. Dat betekent gebroken nachten voor ouders die al genoeg belast zijn door de ziekte van hun kind. Toevallig kent een lid van de oudervereniging een farmacoloog, die een bruikbare suggestie doet: is het niet mogelijk een tablet met vertraagde afgifte te produceren, zodat het middel slechts twee maal daags toegediend hoeft te worden?
De vereniging besluit om zelf op zoek te gaan naar mogelijkheden voor de productie van zo'n tablet met vertraagde afgifte. Gemakkelijk is dit zeker niet. Ze moeten op zoek naar een faciliteit om zulke tabletten voor een redelijke prijs te produceren. Vervolgens moeten ze de weg vinden in de complexe regelgeving rond geneesmiddelen, in het bijzonder die voor zeldzame aandoeningen ('weesgeneesmiddelen'). Voordat de tabletten aan patiënten gegeven mogen worden, moeten hun farmacologische eigenschappen worden vastgesteld in gezonde vrijwilligers en in patiënten. Maar waar doen ze zulk onderzoek? De kans is groot dat de betreffende pillen nooit gefabriceerd worden. Wanneer kennis over regelgeving en faciliteiten gemakkelijker beschikbaar zou zijn, zou nu al een ondernemende fabrikant van generieke geneesmiddelen een interessante extra productielijn hebben opgezet.

Vrij naar een praktijkvoorbeeld.

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 resoneren bovendien met de levendige en actuele discussies over zorgkosten en passen bij de Nederlandse cultuur, waarin snel overleg op hoog niveau mogelijk is tussen uiteenlopende spelers. Voor de komende vijf tot tien jaar zullen deze speerpunten dan ook actueel zijn, waarbij al kort na de start van FAST duidelijkere accenten gelegd zullen worden.

Daarnaast zal 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 het Actieprogramma 'Nieuwe kansen voor topsector Life Sciences en Health' nieuwe speerpunten voortkomen of dat de hier genoemde FAST-speerpunten bijgesteld worden.

[24] *Referentie Motie Veldman 4 december 2019 https://www.parlementairemonitor.nl/9353000/1/j9vvij5epmj1ey0/vl46eahn40zb*

Taken van FAST

1. Informatie verzamen en ontsluiten: Grids en het FAST Impuls loket

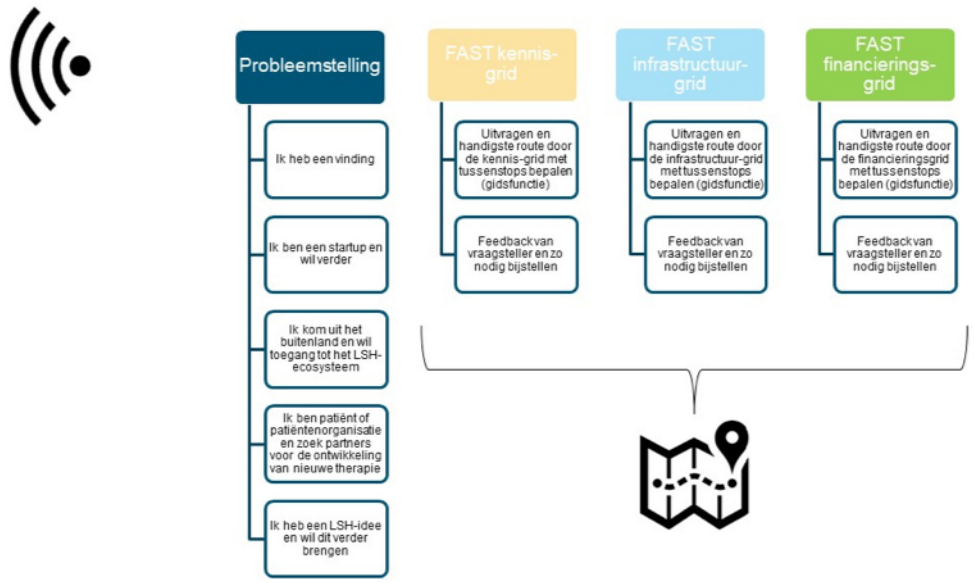
Het verzamelen en actualiseren van relevante kennis wordt eveneens een kerntaak voor FAST. Op het gebied van therapie-ontwikkeling in de genoemde speerpunten moet FAST precies weten wat Nederland te bieden heeft, welke partijen hier actief zijn, wat zij doen, waar zij zitten en wie de contactpersonen zijn.[25] Deze kennis wordt bijeengebracht in zogeheten *grids*, overzichten van de beschikbare kennis op het gebied van infrastructuur, financiering en wetenschap.

Zodra FAST het groene licht krijgt, zullen de drie *grids* met kennis over wetenschap, infrastructuur en financiering in rap tempo worden gevuld. Daarbij kan overigens gebruik gemaakt worden van gegevens en loketfuncties die al landelijk en regionaal beschikbaar zijn. Zo bouwt het financierings*grid* voort op overzichten zoals HollandBio 'find a fund'[26], de kennis- en infrastructuur*grids* zullen een belangrijke aanvulling op de Nederlandse inbreng van de EATRIS-infrastructuur[27] voor *translational science* vormen. Deze grids zullen samen met deze partijen verder worden uitgewerkt. EATRIS heeft met haar innovation helpdesk ook ervaring met het aanbieden van service voor kennisinstellingen en bedrijven. FAST kan daarop voortbouwen als invulling van de Nederlandse national node binnen EATRIS. Naarmate bedrijven en kennisinstellingen de waarde van de grids ervaren, neemt de incentive toe om actief bij te dragen aan het actualiseren ervan.

FAST als nationale node voor EATRIS

EATRIS (European Advanced Translational Research Infrastructure in Medicine) is een van de Europese research infrastructuur consortia (ERIC's), gericht op het translationele onderzoek. Het vervult binnen Europa een rol die lijkt op een van de rollen van FAST, namelijk het ontsluiten van kennis over onderzoeksfaciliteiten, zodat onderzoekers goed weten waar ze terecht kunnen voor een translationeel onderzoeksproject. Nederland is initiatiefnemer en gastland voor EATRIS, maar een nationale EATRIS vestiging ('node') is in ons land nog niet vormgegeven. FAST kan deze rol vervullen en daarmee ook de positie van Nederland in het internationale translationele onderzoek versterken.

Wanneer de grids gevuld zijn, worden zij voor iedereen ontsloten via het FAST-Impuls-loket. Een individu of organisatie met een vraag op het gebied van therapieontwikkeling (met name binnen de drie speerpunten) kan contact opnemen met dit loket. Veel van zulke vragen kunnen snel beantwoord worden aan de hand van de kennis die FAST verzamelt en onderbrengt in grids.
Figuur 3 toont hoe dit eruit kan zien.



Figuur 3 - Voorbeelden van vragen aan het loket en de inzet van de drie grids.

[25] *Zo'n integraal overzicht blijkt er tot dusver nog niet te zijn. Wel zijn er al gedeelten in kaart gebracht. Om te laten zien dat het goed mogelijk is om deze kennis te verzamelen, hebben de kwartiermakers een voorbeeldcasus uitgewerkt. Zie https://fast-zonmw.tronit.nl/. En bijlage 2.*

[26] *https://www.hollandbio.nl/business-solutions/find-a-fund/*

[27] *https://eatris.eu/infrastructure/*

Knelpunten na succesvol translationeel onderzoek

De eerste belangrijke stap van laboratorium naar patiënt is het translationele onderzoek, waarin bevindingen uit het laboratorium geschikt gemaakt worden voor klinische toepassing. Om dit onderzoek te stimuleren, heeft ZonMw programma's gericht op translationeel onderzoek uitgevoerd, die volgens een eerste evaluatie wetenschappelijk zeer succesvol zijn geweest. De onderzoekers beschrijven echter ook hoe lastig translationeel onderzoek kan zijn. Voor onderzoekers die gewend zijn om fundamenteel onderzoek te doen, is translationeel onderzoek een heel andere wereld. De werkwijze is anders, er gelden andere wetten en regels en de complexiteit wordt vaak onderschat. Mede vanwege de strenge regelgeving op het gebied van Good Manufacturing Practice (GMP), zijn de kosten van translationeel onderzoek aanzienlijk hoger dan de kosten van fundamenteel onderzoek. Kortom, translationeel onderzoek is noodzakelijk en kan zeer succesvol zijn, maar vraagt wel om gedegen investering in kennis en faciliteiten. Bovendien is het essentieel dat aandacht wordt besteed aan de vervolgstappen, zodat de resultaten van translationeel onderzoek ook goed doorontwikkeld kunnen worden naar (commerciële) toepassingen.

2. Knelpunten signaleren en adresseren

In de praktijk van therapieontwikkeling lopen veel bedrijven en onderzoekers tegen knelpunten aan, met name op het terrein van wet- en regelgeving. Een voorbeeld is het herhaaldelijk geagendeerde[28] probleem rondom Nederlandse interpretatie van Europese regelgeving en eigen milieuwetgeving rondom werken met genetisch gemodificeerde organismen. Via het FAST-loket kunnen deze worden gesignaleerd en vervolgens geagendeerd in het overleg met de betrokken ministeries. Omgekeerd kan FAST bij een vraag vanuit de overheid op het gebied van een van de speerpunten als aanspreekpunt dienen en zorgen dat de juiste personen en organisaties worden betrokken. Kortom, de informatie in de grids kan bijdragen aan het versoepelen van de communicatie rond therapieontwikkeling op de speerpunten.

FAST Regulatory Science

Het uiteindelijke doel van therapieontwikkeling is in de meeste gevallen een geregistreerd product, dat toegelaten is tot de markt en vergoed wordt door de zorgverzekeraars zodat het beschikbaar is voor wie het nodig heeft. Landelijke, Europese en andere internationale regelgeving is 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 zovele 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 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 Regulatory Science gaat 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 worden ook de lijnen naar die internationale regelgeving korter.

Sterke uitgangspositie in regulatory science

Nederland heeft binnen Europa een sterke positie op het gebied van onderzoek naar regelgeving op het gebied van therapieontwikkeling en markttoelating. Op dit terrein is momenteel veel in beweging, onder meer door ontwikkelingen rond personal medicine en behandelingen voor zeldzame aandoeningen. Mede dankzij het succesvolle Escher project dat in 2007 van start ging[29], zijn al veel belangrijke knelpunten geïdentificeerd.
Zo blijkt dat veel bedrijven in Europa bij de ontwikkeling van ATMP's aanlopen tegen nationale verschillen op het gebied van regelgeving, waardoor nodeloze bureaucratische barrières ontstaan. Een bekend voorbeeld in de Nederlandse context is het vergunningenstelsel rond genetisch gemodificeerde organismen. Veel gentherapie-studies in ons land worden sterk vertraagd doordat naast een toetsing door de centrale commissie mensgebonden onderzoek (CCMO) ook nog een milieuvergunning nodig is. En dat terwijl deskundigen het erover eens zijn dat de huidige vormen van vaccins en gentherapie geen of verwaarloosbare milieurisico's opleveren. Het zou mooi zijn als in Nederland slechts één overheidsinstantie een geïntegreerde beoordeling uitvoert voor zowel medische risico's als milieurisico's bij klinisch onderzoek met medische GMO-producten. FAST biedt de mogelijkheid om dergelijke knelpunten niet alleen te signaleren, maar ook bij de diverse instanties en overheden te adresseren en samen te werken aan passende oplossingen.

[28] *https://www.tweedekamer.nl/kamerstukken/stemmingsuitslagen/detail?id=2019P12172 en FD 17 dec 2018: https://fd.nl/opinie/1282432/gentherapie-verdient-moderne-regels zie ook kadertekst 'Sterke uitgangspositie in regulatory science'.*

[29] *https://www.lygature.org/escher*

3. Infrastructuur

Een impuls aan de drie speerpunten vraagt om een gecoördineerde inspanning op het gebied van infrastructuur, uiteraard in nauwe samenhang met andere initiatieven zoals Health-RI en RegMed XB. Het is niet nodig dat FAST zelf de organisatie en financiering van deze infrastructuur op zich neemt, maar het is wel essentieel dat (nieuwe) infrastructuren aansluiten bij de behoeften op het gebied van therapieontwikkeling.

Samenwerkingspartners zoals ZonMw, Lygature, TNO, Health~Holland en Invest-NL zullen een cruciale rol moeten spelen bij het organiseren en versterken van de diverse infrastructuren, ieder vanuit hun eigen wettelijke mandaat en mogelijkheden. Ook moet met betrokkenen de efficiëntie van (multi-center) onderzoek worden verbeterd. Om de kansrijke positie van Nederland op het gebied van therapieontwikkeling te verzilveren, is een sterkere infrastructuur nodig voor het snel en efficiënt uitvoeren van klinische studies. Zowel voor bedrijfsleven als academie is hier een verbeterslag gewenst. FAST zal op deze gebieden als initiator en katalysator optreden.

Incubators

Voor startende en kleinere bedrijven, maar ook voor ondernemende academici kan het lastig zijn om geschikte faciliteiten te vinden voor de noodzakelijke translationele stappen. Als antwoord daarop kan gericht geïnvesteerd worden in incubators dan wel incubatorprogramma's. Gedacht wordt aan een programma FAST Infrastructure uitgevoerd door ZonMw, dat vergelijkbaar is met het voormalige BioPartner-programma van NWO en SenterNovem (thans RVO)[30]. Bij het opzetten van voorzieningen wordt aansluiting gezocht bij de lokale sterktes en strategische keuzes. Ook de scouting door valorisatie officers, een succesvolle formule uit het BioPartner-programma, kan binnen FAST Infrastructure een plek krijgen, in samenwerking met de Kennistransfer-organisaties (KTO's) van de kennisinstellingen.

4 Doorgeleiden naar hoger TRL-niveau ('doorfinancieren')

Doorfinanciering van kansrijke ontwikkelingen in hun weg van laboratorium naar patiënt is een belangrijk instrument om grip te hebben op de *cost of capital* en doorgeleiding van nieuwe innovaties. Om daadwerkelijk bij te dragen aan de doorontwikkeling van kansrijke producten en daarbij de ontwikkelkosten te reduceren, zijn forse gerichte investeringen nodig, met name in de latere fases van therapieontwikkeling.

Dat vraagt om keuzes bij de inzet van publieke middelen. De programmering zal worden uitgevoerd met samenwerkingspartners, waarbij FAST de hoofdlijnen bewaakt en het geheel overziet.

Transparantie en helderheid over de gehanteerde criteria en procedures zijn uiteraard van groot belang.

Door verantwoordingsregimes te uniformeren en te vereenvoudigen kan FAST een belangrijke bijdrage leveren aan het verlichten van de administratieve last en versnippering verminderen.

FAST kent hiervoor drie geldstromen:

- Seed Financing: het subsidiëren van kansrijke wetenschappelijke projecten;
- Fund Financing voor het opzetten van startende bedrijven, zoals publiek-private samenwerkingen en
- Construct Financing voor de doorstart naar de markt.

Programmering via samenwerkingspartners

Deze geldstromen worden belegd bij bestaande financiers die dat programmatisch uitwerken. Passend bij de ontwikkelfase, de gewenste stimulans, de beschikbare financieringsvormen, de gekozen prioriteiten en omvang van het programmaonderdeel worden ZonMw, HealthHolland en Invest-NL gevraagd delen van de FAST-propositie uit te werken en uit te voeren, waarbij FAST bewaakt dat de verschillende stappen in het proces van therapieontwikkeling goed op elkaar aansluiten. Hier moet dus nog een belangrijke programmeerstap plaatvinden waar het veld nauw bij betrokken moet worden.

Fund Financing is een nieuwe vorm in het land van publiek-private samenwerking. De bedoeling is dat bij een succesvolle doorontwikkeling geld terugvloeit naar het fonds. Wanneer de doorontwikkeling niet leidt tot commercieel succes, wordt de betreffende investering afgeschreven. Zo ontstaat een vorm die enerzijds de ontwikkelkosten reduceert door de *cost of capital* terug te dringen, anderzijds optimaal omgaat met publieke middelen. Construct Financing kan bijvoorbeeld voortkomen uit een nader op te zetten FAST Invest-NL-programma of andere (regionale) fondsen. FAST of een partij uit het veld brengt partijen initieel met elkaar in contact. FAST treedt in alle gevallen op als makelaar om te bevorderen dat het complete benodigde financieringspakket ontwikkeld wordt. Ook hierbij geldt dat resultaatsgebieden worden benoemd.

Als rode draad door alle financieringsarrangementen heen loopt het gegeven dat FAST bij iedere stap aandacht heeft voor de inbouw van affordability en sustainability zonder daarbij dogmatisch te worden. Naarmate men hogere TRL-niveaus bereikt, verandert de financieringsbehoefte en het aanbod en beschikbaarheid van publieke financiering. In alle fasen kunnen Regionale ontwikkelingsmaatschappijen of andere publieke financiers een rol spelen. Het is dan ook van het grootste belang dat informatie over al deze potentiële financiers met een simpele druk op de knop beschikbaar is (via grids, zie boven).

[30] *Dit programma uit het eerste decennium van deze eeuw was bedoeld om de valorisatie van academische kennis te faciliteren. Het voorzag in subsidies voor startende ondernemingen in de LSH-sector. De eindevaluatie door InnoTact Consulting (Dr. Maarten B.M. van Dongen e.a.) verscheen in juli 2005.*

Toegang tot informatie en samenhangende financiering kan onderneming redden

Een ondernemer beschrijft hoe zij al meer dan vijf jaar bezig is om een product voor de kindergeneeskunde op de markt te brengen. Hoewel zij zichzelf als idealist ziet, die mede gedreven wordt door de wil om bij te dragen aan goede patiëntenzorg, ervaart zij veel tegenwerking. Ook op systeemniveau zit het niet mee: in een jaar tijd moet zij drie maal haar bedrijfsvoering drastisch aanpassen vanwege wetswijzigingen. Ondanks haar betrokkenheid lijkt zij voortdurend achter de feiten aan te lopen. Zij slaagt erin om een aanzienlijk bedrag aan venture capital te verzamelen, maar hoewel zij aanvankelijk gunstige signalen krijgt, wordt haar verzoek om een investeringskrediet afgewezen. Nu overweegt zij om haar bedrijf in een te vroeg stadium te verkopen, om het beste gedaan te hebben voor haar veelbelovende vinding en nog iets terug te zien van haar tijdsinvestering van jaren. Het bedrijf zou dan naar het buitenland vertrekken. Of het product ooit de (Nederlandse) gezondheidszorg bereikt, is zeer de vraag.
Met FAST zou deze ondernemer in elk geval zijn voorzien van adequate informatie. Er zou een palet aan mogelijkheden voor financiering zijn die aansluiten bij haar behoeften. Als haar product inderdaad een goede bijdrage levert aan betaalbare en bereikbare gezondheidszorg, kan het voor de Nederlandse markt en de Nederlandse patiënt behouden blijven.

Vrij naar een praktijkvoorbeeld.

Alternatieve ontwikkelings- en financieringsmodellen

Veel succesvolle nieuwe therapieën zijn ontwikkeld binnen bestaande bedrijven of in startups. Toch is op het totaal de slaagkans van nieuwe therapieën niet groot, met name de vroege fase van therapieontwikkeling is vaak zeer onzeker. De slaagkans wordt verder beperkt doordat onder druk van schaarse middelen in een (te) vroeg stadium een 'winnaar' gekozen moet worden. Dit betekent dat veel risicokapitaal nodig is en de kosten van nieuwe behandelingen worden opgedreven[31]. 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.

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 bereiding in de ziekenhuisapotheek (zogeheten magistrale bereiding) of door het gericht stimuleren van de productie en implementatie van (generieke) (wees)geneesmiddelen voor zeldzame ziekten.

5 Onderwijs

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. Bovendien wordt interdisciplinariteit een steeds belangrijker thema door de integratie van geneesmiddelen en technologie in de therapieontwikkeling en in de klinische praktijk. Het huidige aanbod aan (hoger) onderwijs voorziet slechts ten dele in deze behoeften. Opmerkelijk genoeg bestaan er wereldwijd nauwelijks opleidingen die gericht zijn op therapie-ontwikkeling en het bijbehorende ondernemerschap met al zijn complexe ethische en juridische uitdagingen. FAST maakt zich hier sterk voor en wil daarnaast gericht onderwijs stimuleren op een aantal specifieke terreinen, aansluitend bij de Human Capital Agenda van de Topsector en het LSH-Actieprogramma.

Zo moet (in samenwerking met Dutch Clinical Research Foundation (DCRF)) gewerkt worden en het opleiden van voldoende ondersteunende professionals zoals bijvoorbeeld research nurses. Ook is het van belang dat er voldoende onderzoekende ondernemers en ondernemende onderzoekers komen, met andere woorden professionals die voldoende overzicht hebben over het geheel van therapieontwikkeling van laboratorium tot patiënt. Hier kan FAST aansluiten bij de activiteiten van het Paul Janssen Futurelab.

Om de samenwerking tussen academische groepen en het bedrijfsleven te versterken, zal bovendien gewerkt worden aan de ontwikkeling van onderzoeksplaatsen voor gepromoveerde onderzoekers in het bedrijfsleven (industriële postdocs). Zulke professionals, die een deel van hun loopbaan in academische groepen en een deel in het bedrijfsleven doorbrengen, zullen in de toekomst bijdragen aan een sterkere publiek-private samenwerking rond therapieontwikkeling.

Verder is in het onderwijs aan onderzoekers meer aandacht gewenst voor mogelijkheden op het gebied van proefdiervrije innovaties. Rond regeneratieve geneeskunde en de bijbehorende technologie zijn al initiatieven op het gebied van opleiding tot stand gekomen. FAST zal hiermee afstemming zoeken, om te garanderen dat het volledige palet van toekomstige innovatieve therapieontwikkeling gedekt wordt.

Al deze activiteiten op het gebied van onderwijs zullen als bijkomstig voordeel hebben dat de contacten met de verschillende spelers op het gebied van therapieontwikkeling versterkt worden. Dit zal ook bijdragen aan de signalerende functie van FAST en aan het actualiseren van de grids.

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

Doorontwikkeling

Aan de hand van de inventarisaties en de strategische keuzes zal voortdurend worden bepaald welke randvoorwaarden verder versterkt moeten worden. Daarbij moet specifiek worden gekeken naar infrastructuren op het gebied van bijvoorbeeld:

- innovatief onderzoek: proefdierfaciliteiten, faciliteiten voor de diverse -omics, beeldvormende technieken, sleutel-technologieën, technology hotels[32], FAIR-dataopslag en -uitwisseling, proefdiervrije innovaties etc.
- translationeel onderzoek: GMP-faciliteiten, research hotels, productiefaciliteiten, ATMPs etc.
- ondersteuning van startende bedrijven: incubators, advisering en ondersteuning, financierings- en kredietmogelijkheden, etc.
- klinische studies: datamanagement, FAIR-dataopslag en -uitwisseling, etc.
- langetermijnevaluatie: FAIR-dataopslag en -uitwisseling zorgdata.

Aansluiting bij bestaande en geplande initiatieven.

De hier benoemde FAST-activiteiten sluiten goed aan bij onderstaande bestaande en geplande initiatieven rond innovatieve therapieontwikkeling. Zodra de organisatie is opgestart, zal samenwerking worden gezocht, waarbij sommige van deze initiatieven wellicht onder de vlag van FAST voortgezet dan wel gefinancierd kunnen worden en met anderen naar optimale synergie wordt gestreefd. Op het gebied van onderwijs bijvoorbeeld is een consortium gevormd dat een training in medicijnontwikkeling nastreeft.[33]

Het opheffen van knelpunten wordt al op diverse terreinen aangepakt. Zo richten Lygature en het Regulatory Science Network Netherlands zich op onderzoek naar regulatoire vernieuwing, terwijl Holland Bio met programma's als BRIDGE en het Investeringsfonds 'Biotech Business Breakthroughs' bedrijven wil helpen om innovaties richting de markt te brengen. Een snelle start van FAST kan mogelijk een aantal klaarliggende voorbeeld-projecten financieren en daarmee een kickstart geven aan FAST. FAST zal ook aansluiting zoeken bij gerenommeerde netwerk-organisaties zoals FIGON, bij organisaties in oprichting zoals het Vaccin platform en de Antibiotica Alliantie en bij het Kenniscentrum bereiding en productie.

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

[33] *https://www.ccmo.nl/actueel/nieuws/2018/05/29/inventarisatie-kennisbehoefte-en-opleidingswensen-biomedische-professionals*

4.

De FAST-organisatie:
verankerd in de praktijk

Een klein, slagvaardig en onafhankelijk regieorgaan, sterk verankerd in de bedrijfsmatige en academische praktijk, dat voor het uitvoerende werk voor een belangrijk deel gebruikmaakt van de expertise bij bestaande organisaties. Dat is het beeld van de FAST-organisatie dat in dit hoofdstuk geschetst wordt.

Inleiding

De tijd is rijp voor FAST. Om internationaal in de voorhoede te blijven spelen en daar maatschappelijk, economisch en wetenschappelijk de vruchten van te plukken, zou Nederland stevig moeten investeren in een impuls voor innovatieve therapieontwikkeling, met aandacht voor betaalbaarheid, duurzaamheid en beschikbaarheid van de nieuwe ontwikkelde therapieën.

Hoofdlijnen

De opdracht van de minister aan de kwartiermakers verwoordt welke prioriteiten FAST dient te krijgen: 'Ik zie graag een concrete uitwerking van de ambitie van FAST om het gehele proces van innovatieve therapieontwikkeling te gaan overzien, hoe FAST zicht blijft houden op welke onderzoeksgroepen welke mogelijkheden hebben, hoe FAST actief kan bijdragen aan het ontwikkelen van infrastructuur en onderwijs (human capital) en hoe u vanuit een heldere, breed gedragen strategie kan bijdragen aan een samenhangend programma van R&D-activiteiten.'
Hier wordt een aantal essentiële elementen benoemd, die zeker een plaats moeten krijgen in een toekomstige FAST-organisatie:

- Strategiebepaling (in samenspraak met het LSH-ecosysteem en het LSH-Actieprogramma);
- Het laten ontwikkelen en uitvoeren van programma's van R&D-activiteiten en daarbij de onderlinge samenhang borgen en optimaliseren;
- Overzicht (over de academische inspanningen, infrastructuur en financieringsmogelijkheden) en de actualisering daarvan;
- Infrastructuur, met name rond de drie speerpunten regeneratieve geneeskunde, personalised medicine en de behandeling van zeldzame aandoeningen;
- Onderwijs/human capital.

Deze elementen komen goed overeen met de taken die in hoofdstuk 3 beschreven zijn.

Financiering

Therapieontwikkeling is een buitengewoon complexe en kostbare aangelegenheid. Alleen met een substantiële financiële bijdrage kan de benodigde impuls worden gegeven die een betekenisvolle impact heeft voor Nederland op dit gebied. De vraag wat een minimaal jaarbudget zou zijn is dan ook een van de belangrijkste kwesties waar de kwartiermakers aandacht aan hebben besteed. Een conclusie die uit de meeste gesprekken naar voren kwam is dat FAST zelf gedurende 10 jaar gemiddeld een jaarbudget van tenminste 150 miljoen euro nodig heeft om daadwerkelijk verschil te maken op het gebied van innovatieve therapieontwikkeling. Met name de latere fases van therapieontwikkeling zijn immers bijzonder kostbaar (zie ook kadertekst en het Gupta rapport[34]). Internationale voorbeelden laten zien dat focus en massa nodig zijn om enige impact te bereiken. De organisatie zou in de eerste drie jaar moeten groeien naar dat jaarbudget. Dat biedt ook de tijd en gelegenheid om de onderliggende programmering samen met de partnerorganisaties in te richten. Een schets van de activiteiten in de eerste periode wordt gegeven in hoofdstuk 5; bijlage 4 geeft een mogelijke invulling van de budgetten.

Publieke financiering kan ontwikkelkosten reduceren

Het rapport 'The cost of opportunity – A study on pharmaceutical R&D costs' van Gupta Strategists analyseert het plaatje dat ten grondslag ligt aan de hoge ontwikkelkosten van nieuwe behandelingen. Deze hoge kosten vormen een belangrijke argument voor producenten om hoge prijzen te vragen voor het uiteindelijke product. Om invloed uit te kunnen oefenen op de affordability is het reduceren van de ontwikkelkosten dus een belangrijke doelstelling. Volgens het rapport worden meer dan de helft van de ontwikkelkosten van een nieuwe behandeling veroorzaakt door de cost of capital. Het gaat immers om een riskante investering, waarbij financiers een hoge return on investment claimen als compensatie voor hun risico. Een van de manieren die de auteurs zien om ontwikkelkosten te reduceren is publieke financiering. Bij publieke middelen is immers geen verwachting van een hoge directe return on investment. De verschillende financiële instrumenten van FAST kunnen helpen de cost of capital te verminderen. Zo kan hun publiek revolverend fonds soms een groter risico nemen gedurende een langere looptijd, met alternatieve rendementseisen.

Een ander aspect dat in het Gupta-rapport genoemd wordt is de hoge cost of failure. Veel behandelingen die er in een vroeg stadium kansrijk uitzagen, blijken uiteindelijk toch niet effectief en/of veilig genoeg te zijn. Hoe later in het proces van klinische ontwikkeling dit gebeurt, des te groter is het verlies. Dit probleem is slechts ten dele te ondervangen, al kan goede informatievoorziening en zorgvuldig ingericht vroeg-klinische onderzoek bijdragen aan het tijdig signaleren van problemen. Ook hier kunnen publieke middelen de pijn verzachten, door gunstige voorwaarden in het geval van falen, zoals dat nu al gebruikelijk is bij investeringskredieten.

De totale ontwikkelkosten voor een nieuw geneesmiddel bedragen volgens Gupta Strategists 2,5 miljard dollar. Daarvan is 1,3 miljard 'cost of capital'. Een jaarlijkse investering in FAST van 150 miljoen euro gedurende 10 jaar is dus nauwelijks meer dan de netto ontwikkelkosten van één geneesmiddel. Met een strategische inzet, waarbij dankzij publieke middelen ook gemakkelijker private financiering kan worden aangetrokken, is een grotere impact mogelijk. Het is echter wel duidelijk dat een substantiële investering noodzakelijk is. Bij een jaarbudget kleiner dan 150 miljoen zal FAST niet de gewenste impact hebben op innovatie, duurzaamheid en betaalbaarheid.

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

Globale onderbouwing budget

FAST wordt een substantiële nieuwe impuls voor therapie-ontwikkeling. Die begint met een krachtige stimulans voor baanbrekend innovatief en translationeel onderzoek, de kraamkamer voor innovaties. Het vereist met andere woorden een solide investeringsbasis in onderzoek naar targets en inzicht in ziektemechanismen en de vertaalslag naar potentiële nieuwe behandelingen. Het puur innovatieve onderzoek is primair een taak voor de kennisinstellingen, maar zodra daar potentiële toepassingen uit voortkomen, moet FAST de stappen naar hogere TRL-niveaus kunnen faciliteren.

Het translationele onderzoek vormt de kraamkamer van de therapieontwikkeling. Om deze goed in te richten is een mix nodig van structurele investeringen en projectmatige financiering via een vernieuwd ZonMw-programma Translationeel Onderzoek (TO) samen met een Biopartner 2.0 programma. Het vernieuwde TO-programma zou een grotere omvang moeten krijgen om naast onderzoek- en ontwikkelprojecten ook te kunnen investeren in randvoorwaarden en voorzieningen (bijvoorbeeld productie-faciliteiten voor regeneratieve geneeskunde en andere ATMP's onder GMP-condities). Translationeel onderzoek omvat zowel preklinische als vroegklinische studies, bijvoorbeeld om *proof of concept* aan te tonen, waarvan de kosten per studie kunnen oplopen tot 5 miljoen euro.

Een Biopartner 2.0 programma stimuleert een landelijk incubator netwerk en het onderwijs op het gebied van therapie-ontwikkeling. Voor dit programma zullen de totale kosten voor de komende tien jaar 50 miljoen euro bedragen (waarvan 15 miljoen voor de ontwikkeling en ondersteuning van landelijk onderwijs en 35 miljoen voor de (door)ontwikkeling, huisvesting en kennisnetwerk van de incubators). De kosten voor een Biopartner programma kunnen worden verdeeld over de looptijd van FAST.

Jaarlijks zal er voor deze kraamkamer (TO plus Biopartner) in totaal gemiddeld 75 miljoen euro beschikbaar moeten zijn. Programmering van al deze activiteiten, inclusief een uitgewerkt budgetvoorstel zal ZonMw primair kunnen uitwerken, samen met Health~Holland, InvestNL en het FAST-bureau, voor optimale voorwaarden voor latere doorgeleiding.

In grotere (vaak publiek-private) samenwerkingen kan de verdere klinische ontwikkeling worden vormgegeven. Als via FAST-programmering, bij de verantwoordelijke partijen, per jaar vijf (vaak multidisciplinaire) onderzoeksprojecten worden gefinancierd in deze ontwikkelfase dan is daarmee een jaarbudget van 25 miljoen euro gemoeid. Hieruit kan worden geïnvesteerd in de (vaak vroege fase) klinische ontwikkeling van enkele interventies. Hieronder vallen onder andere *dose finding, efficacy* en veiligheidsstudies bijvoorbeeld bij een specifieke patiënten-groep. Dit betreft een relatief grote patiëntenpopulatie en onderzoek met strikte kwaliteitscontroles en analysemethoden conform de vereisten die wet- en regelgeving met zich meebrengt. Mogelijk kunnen er op den duur meer projecten worden gefinancierd omdat in deze fase enige vorm van revolverendheid mogelijk is; bij succesvolle doorontwikkeling kan de mogelijkheid van het terugbetalen van de initiële subsidie worden onderzocht en ingebouwd. Health~Holland zal deze programmering primair kunnen uitwerken, samen met ZonMw, InvestNL en FAST-bureau voor optimale voorwaarden voor doorgeleiding.

De volgende stap is het betrekken van investeringen. Uit gesprekken met InvestNL blijkt dat per casus 5-20 miljoen euro investeringen uit publiek geld nodig zou zijn om enige eisen te kunnen stellen op het gebied van beschikbaarheid en betaal-baarheid. Uitgaande van 3 casussen per jaar zou hiervoor een jaarbudget gereserveerd moeten worden van 50 miljoen euro. Ook hier geldt dat er in de loop der tijd meer projecten kunnen worden gefinancierd door de opbrengsten uit het investerings-programma in te zetten. InvestNL zal dit investeringsfonds primair kunnen uitwerken, samen met ZonMw, Health~Holland en FAST-bureau voor optimale voorwaarden voor doorgeleiding.

De uiteindelijke inzet van het totale jaarbudget op de drie financieringsfases is te zien in tabel 1. Een schets van de activiteiten in de eerste periode wordt gegeven in hoofdstuk 5; bijlage 4 geeft een mogelijke invulling van de budgetten.

Financieringsfase	Seed financing voor translationeel onderzoek en infrastructuur (subsidies)	Fund financing voor verdere klinische ontwikkeling (bijvoorbeeld PPS)	Construct financing voor stappen richting de markt (investeringen)
Jaarbudget (in miljoen euro)	75	25	50

Tabel 1 - Financieringsfases

Bundeling publieke middelen

Eerder is in een Kamerbrief weergegeven dat er een flink aantal publieke financieringsinstrumenten zijn wat betreft innovatieve therapieontwikkeling[35]. Deze instrumenten variëren behoorlijk in scope, omvang, looptijd, uitkomsten, verantwoordings-mechanismen, financierende organisatie en impact. De kwartiermakers pleiten ervoor om deze in stand te houden. Op het terrein van deze reeds toegezegde gelden verandert dus niets.

Wel is het essentieel dat verlenging en vernieuwing van programma's op het gebied van therapieontwikkeling in de toekomst via FAST wordt vormgegeven. Hierdoor ontstaat inhoudelijke samenhang en worden doublures en/of versnippering voorkomen. Om FAST als nationaal platform te starten zijn nieuwe middelen nodig, liefst in een gezamenlijke opdracht van de betrokken ministeries.

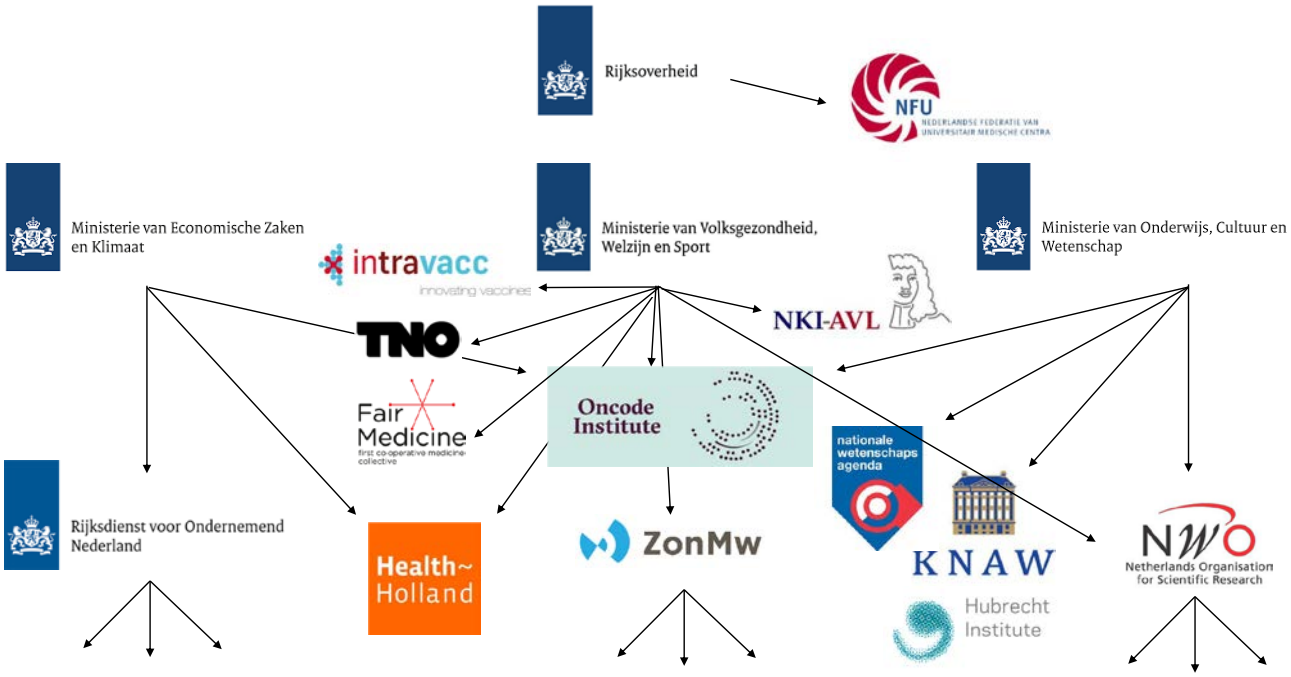
Organisatie, governance en inbedding

Zoals eerder beschreven zal FAST zorg moeten dragen voor de nodige continuïteit in de therapieontwikkeling binnen de drie genoemde speerpunten, zonder de uiteindelijke uitvoering van de programma's bij partnerorganisaties rechtstreeks te managen. Om het in een beeldspraak te zeggen: de luchtverkeerstoren van een vliegveld houdt met een beperkt aantal mensen het overzicht over de vliegbewegingen. Elke piloot behoudt zijn of haar eigen verantwoordelijkheid, net als het grondpersoneel en alle anderen op de luchthaven. Met andere woorden: de aanbeveling is om FAST in te richten als een regieorgaan, met een kleine effectieve uitvoeringsorganisatie en een sterke inbedding in de werelden van academische therapieontwikkeling, publiek-private samen-werkingen en innovatieve bedrijven.

Uitvoeringsorganisatie FAST

De uitvoeringsorganisatie FAST wordt de wegwijzer in een netwerk van innovatieve therapieontwikkeling in Nederland. Hier komt de informatie uit de werelden van zorg, wetenschap, bedrijfsleven, patiëntenbelangen en overheid bij elkaar, met een sterk accent op de speerpunten personalised medicine, regeneratieve geneeskunde en zeldzame aandoeningen. In de komende twee jaar zal dit netwerk worden opgebouwd, om vervolgens grondig te worden onderhouden en geactualiseerd. De FAST-uitvoeringsorganisatie vervult ook een makelaarsrol, door partijen bijeen te brengen (bijvoorbeeld startende ondernemers, wetenschappers en financiers) en adviseert uiteenlopende partijen inclusief de overheid op het gebied van therapieontwikkeling.

Bij het werven van medewerkers zal actief gezocht worden naar mensen die nauwe contacten hebben met het veld. De voorkeur zal uitgaan naar mensen die bereid en in staat zijn om hun werk bij FAST te blijven combineren met een functie in bedrijfsleven, onderzoek of beleid. De organisatie wordt in de komende twee jaar opgebouwd. Het bureau zal aanvankelijk ongeveer 5 FTE omvatten.



Figuur 4 - Enkele belangrijke initiatieven en financieringsstromen – voor een vollediger overzicht zie Kamerbrief (noot 35).

[35] *https://www.rijksoverheid.nl/binaries/rijksoverheid/documenten/kamerstukken/2018/10/08/kamerbrief-over-inzicht-in-collectieve-middelen-voor-medicijnontwikkeling/kamerbrief-over-inzicht-in-collectieve-middelen-voor-medicijnontwikkeling.pdf*

Veldexpertiseraad

De ontwikkeling van nieuwe therapieën vraagt om zeer uiteenlopende expertises. Nieuwe ontwikkelingen moeten op hun merites beoordeeld worden en ook de vertaalslag van academische kennis naar markttoepassingen is een stapsgewijs proces met telkens unieke uitdagingen. Om te zorgen dat FAST kan beschikken over een brede expertise en om nauwe contacten te onderhouden in de breedte van het LSH-ecosysteem, zal een Veldexpertiseraad worden ingesteld.

De Veldexpertiseraad bestaat uit experts op diverse terreinen, afkomstig uit uiteenlopende organisaties, kennisinstellingen en bedrijven. Het betreft een informeel netwerk op basis van vrijwilligheid en betrokkenheid, dat input geeft aan de dagelijkse activiteiten en ook een kanaal is waarlangs veldpartijen invloed kunnen uitoefenen. FAST borgt adequate vertegenwoordiging van betrokken disciplines.

Wanneer zich een vraag voordoet bij de uitwerking van de FAST-strategie of er dient zich een belangrijk vraagstuk aan vanuit veldpartijen of overheid, kunnen leden van de Veldexpertiseraad gericht worden gevraagd om zitting te nemen in een taakgroep. Zo'n taakgroep richt zich dus op een specifiek vraagstuk en voedt de uitvoeringsorganisatie met relevante kennis, expertise en contacten. De taakgroepen bestaan uit leden van de Veld-expertiseraad, ad hoc aangevuld met andere experts op het betreffende deelterrein.

De voltallige Veldexpertiseraad komt twee maal per jaar bijeen. Er vindt dan informatie-uitwisseling plaats over actuele ontwikkelingen, waarbij de experts gericht input leveren op vraagstellingen. Dit biedt de gelegenheid om een brede delegatie uit het veld te informeren over de voortgang van FAST en te horen wat de veldpartijen bezighoudt. Deze bijeenkomst draagt ook bij aan netwerkvorming op het gebied van innovatieve therapie-ontwikkeling. De Veldexpertiseraad legt dus geen extra druk op bestuurders, maar helpt juist om de informatie-uitwisseling te stroomlijnen en om de FAST-samenwerkingspartners van actuele informatie te voorzien. Met de concrete invulling van de Veldexpertiseraad en de taakgroepen wordt een begin gemaakt bij het opbouwen van de FAST-organisatie.

Juridische vorm

Als FAST geen nieuwe organisatie wordt, maar wel een zelfstandige en onafhankelijke positie moet innemen, wat is dan de optimale juridische vorm? Op zoek naar analogieën, mede geleid door de opdracht van de minister om lessen te trekken uit eerdere vergelijkbare initiatieven, kwamen de kwartiermakers uit bij het Netherlands Genomics Initiative (NGI). Inhoudelijk uiteraard een heel andere impuls dan de therapieontwikkeling die bij FAST centraal staat, maar ook een regieorgaan rond een belangrijke impuls waarbij diverse partijen betrokken zijn en hoogwaardige kennis vertaald moet worden naar maatschappelijke toepassingen. Een van de kwaliteiten van NGI is geweest dat er een zorgvuldige evaluatie heeft plaatsgevonden, die als inspiratie kan dienen voor de vormgeving van FAST. De lichte bestuurskundige constructie van het convenant die gebruikt is bij NGI, is op FAST toepasbaar.

De betrokkenheid van de 'founding fathers', de ministeries van VWS en EZK kan goed worden gewaarborgd, evenals de onafhankelijkheid van FAST. Het oprichten van een regieorgaan laat bestaande structuren intact en verbindt hen rond een specifiek thema (‘doen uitvoeren’ is het devies).

De constructie ziet er vertaald naar FAST als volgt uit:
De stichtende partijen VWS en EZK sluiten een convenant met de partij waarbij de uitvoeringsorganisatie FAST wordt ondergebracht, waarbij het volgende wordt geregeld:

- Zelfstandigheid FAST
- Onafhankelijkheid FAST (dus losstaand van de organisatie waar het is ondergebracht)
- Dienstverlening tussen organisatie die FAST opneemt en FAST uitvoeringsorganisatie
- Financieel arrangement (een jaarbudget van 150 mio)
- Governance FAST
- Looptijd FAST (10 jaar)

Dit convenant wordt gepubliceerd in de Staatscourant, zodat alle betrokkenen helder geïnformeerd zijn over de verantwoordelijk-heden van de gastheerorganisatie, de betrokken ministeries en de FAST-organisatie.

Governance

FAST is het initiatief van twee ministeries die zo uitvoering geven aan de politieke wens om een impuls te geven aan innovatieve therapieontwikkeling in Nederland waarbij affordability en sustainability een nadrukkelijke plaats hebben. Zoals hiervoor beschreven staat, leggen zij in het convenant met de gastheer van FAST de belangrijkste randvoorwaarden vast. De twee ministeries zijn gezamenlijk politiek verantwoordelijk voor FAST en aan hen legt FAST jaarlijks verantwoording af. Om een en ander werkbaar te houden, is het raadzaam als de ministeries afspreken welk departement het coördinerende ministerie is, dat als eerste aanspreekpunt voor FAST functioneert.

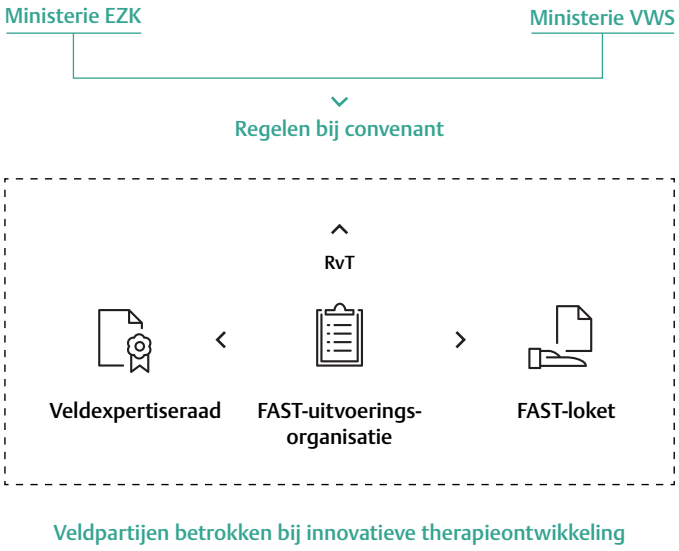
Raad van Toezicht (RvT)

De Raad van Toezicht wordt benoemd door de ministeries en bestaat uit zeven personen afkomstig uit de velden kennis, bedrijfsleven, medische technologie, maatschappelijk veld (nadruk op patiënt), financiering, regelgeving en een onafhankelijk voorzitter. Om de gewenste afstemming met ZonMw, Health~Holland en Invest-NL verder vorm te geven zal de FAST uitvoeringsorganisatie met grote regelmaat haar activiteiten onderling afstemmen.

De RvT volgt de principes van de Zorgbrede Governancecode en de daarvan afgeleide rollen en verantwoordelijkheden. De belangrijkste rol is het houden van toezicht op de FAST uitvoeringsorganisatie en hun activiteiten toetsen aan het FAST-gedachtegoed. Vanwege de onafhankelijkheid/ zelfstandigheid van FAST is bewust voor een RvT gekozen en niet voor een bestuur.

De uitvoeringsorganisatie FAST heeft zelf directe lijnen met alle betrokken partijen.

De RvT heeft om dezelfde reden zelf geen directe lijn met de ministeries noch met de FAST gastvrijheid verlenende organisatie. Mochten er problemen ontstaan tussen de uitvoeringsorganisatie en genoemde partijen, dan kan de RvT een bemiddelende rol vervullen bij het zoeken naar oplossingen.



Figuur 5 - De FAST-governance in één oogopslag.

Organisatorische inbedding

De opdrachtbrief van de minister stelt duidelijk: 'De insteek dient te zijn om geen nieuwe organisatie op te richten.' Met andere woorden, het heeft een sterke voorkeur van het kabinet om FAST onder te brengen bij een bestaande organisatie. Inbedding in een bestaande structuur kan de efficiëntie ten goede komen, draagt bij aan de herkenbaarheid en continuïteit en versterkt de mogelijkheden voor verslaglegging en verantwoording. Voor essentiële functies zoals human resource management en financiële administratie kan gebruik gemaakt worden van de faciliteiten van de gastheer. De kwartiermakers zijn dus op zoek gegaan naar een geschikte organisatie waarbinnen FAST een plek kan krijgen.

Om te beginnen zijn criteria benoemd die richting konden geven aan de keuze voor zo'n organisatie. Deze zijn vervolgens gewogen op grond van een analyse van documenten en de input uit de vele gesprekken die in de afgelopen maanden gevoerd zijn. Het ging hierbij de volgende criteria:

- Zelfstandigheid: FAST dient een zelfstandige positie te hebben binnen de organisatie waarbij het ingebed wordt;
- Onafhankelijkheid: mede vanwege de positie van FAST als regievoerder over geldstromen moet de onafhankelijkheid volledig zijn gewaarborgd. De organisatie waar FAST te gast is bepaalt niet het beleid van FAST;
- Zichtbaarheid: FAST moet goed zichtbaar zijn vanwege de loketfunctie voor innovatieve therapieontwikkeling;
- Publieke organisatie: het onderbrengen bij een publieke organisatie heeft voordelen vanwege de noodzakelijke binding met het openbaar bestuur en de financiering vanuit de overheid;
- Ervaring met hybride organisatievormen;
- Ervaring met netwerksamenwerking: FAST dient te worden opgezet als een netwerkorganisatie pur sang, onderbrenging bij een organisatie die gewend is in netwerken te denken heeft een duidelijke meerwaarde;
- Aanwezigheid van een ter zake kundig ondersteunend administratief apparaat: uit efficiency overwegingen is het zinvol als FAST gebruik kan maken van diensten op administratief/financieel gebied van de organisatie waar zij wordt ondergebracht;
- Realiseerbaarheid: voor een snelle start van FAST het belangrijk dat een constructie vlot gerealiseerd kan worden;

- Vanzelfsprekendheid: de plaats waar FAST wordt ondergebracht moet vanzelfsprekend zijn voor alle partijen die actief zijn op het gebied van innovatieve therapieontwikkeling.

Met deze criteria in de hand zijn de kwartiermakers vervolgens de verschillende opties langsgegaan. Huisvesting bij een van de opdrachtgevende ministeries zou voor onduidelijkheid kunnen zorgen over de zelfstandigheid en voor sommige veldpartijen niet vanzelfsprekend zijn. Het leek vanwege de onafhankelijkheid evenmin gewenst om FAST onder te brengen bij een veldpartij zoals TNO of Lygature die in de toekomst hoogstwaarschijnlijk via FAST-subsidiegelden voor eigen onderzoek zal ontvangen. De twee partijen die logischerwijs als gastheer kunnen fungeren zijn dan ZonMw en Health~Holland. Beide zijn publieke organisaties die goed zichtbaar zijn in het veld. Uiteindelijk is gekozen voor ZonMw, omdat hier al ruime ervaring bestaat met het huisvesten van onafhankelijke organisaties.

ZonMw heeft bovendien veel ervaring op het gebied van programmamanagement en netwerksamenwerking. Ook voor de meeste veldpartijen zal het vanzelfsprekend zijn om FAST hier onder te brengen. Zoals NWO indertijd de logische gastheer was voor NGI, zo is ZonMw dat nu voor FAST dat zich richt op therapieontwikkeling.

Over de onafhankelijkheid en zelfstandigheid zullen heldere afspraken gemaakt moeten worden. Dat is van extra belang voor de beeldvorming richting bedrijven, financiers en andere veldpartijen buiten de academische wereld. Onafhankelijkheid en zelfstandigheid zijn ook van belang aangezien FAST voor specifieke taken en programma's opdrachtgever van ZonMw kan zijn.

Continue wisselwerking met het veld

Therapieontwikkeling is een complex creatief proces dat zich niet in een keurslijf laat dwingen. Om dit proces te faciliteren, zal de FAST-organisatie voortdurend voeling houden met de verschillende autonome partijen in het veld. Dat geldt uiteraard voor het actualiseren van de grids, maar ook voor de signalerende en communicerende functies die FAST heeft.

Wanneer zich ergens knelpunten voordoen, of de actualiteit vraagt om specifieke activiteiten (denk bijvoorbeeld aan vaccin- en therapieontwikkeling bij de huidige COVID-19 crisis), moet FAST in staat zijn om snel de relevante partijen met elkaar in contact te brengen en te werken aan oplossingen. Ook bij het bepalen en verfijnen van de strategie en het kiezen van prioriteiten binnen de speerpunten is het van belang om te weten wat er leeft bij de diverse veldpartijen.

Om de FAST-organisatie zelf *lean and mean* te houden, is ervoor gekozen om de continue wisselwerking met de veldpartijen langs de volgende vijf lijnen te borgen:

- Via de Veldexpertiseraad
- Via het Actieprogramma 'Nieuwe kansen voor topsector Life Sciences en Health'
- Via het Topteam LSH
- Via de directe contacten tussen FAST en de veldpartijen in het kader van de uitvoering van haar werkzaamheden
- Via het FAST-Impuls-loket.

De uitwerking van alle onderdelen van FAST wordt aangepakt na een positief besluit. Immers dan begint het echte bouwen aan FAST (zie hoofdstuk 5).

Regionale initiatieven

Uit de rondgang van de kwartiermakers en uit de veel bredere inventarisatie door de ambassadeur van het LSH-Actieprogramma blijkt dat er veel relevante activiteiten worden ontplooid op regionaal niveau. Zo zijn regionale investeringsfondsen niet meer weg te denken uit het landschap van biotech- en medtech startups, spelen lokale science parks en andere initiatieven een sleutelrol in de bedrijvigheid en weten onderzoekers, MKB en anderen elkaar op regionaal niveau steeds beter te vinden.

Deze positieve ontwikkeling zou nog beter kunnen worden benut wanneer er meer verbinding en uitwisseling plaats zou vinden tussen dergelijke regionale initiatieven onderling en landelijke initiatieven. Dat kan worden bevorderd door deze regionale initiatieven te inventariseren en op te nemen in de grids. Ook uit oogpunt van financiering en voorkomen van doublures is dit van veel belang.

Door het opnemen van vertegenwoordigers van regionaal werkende organisaties in de Veldexpertiseraad, worden zij actief in verbinding gebracht met andere organisaties en personen die actief zijn op het gebied innovatieve therapieontwikkeling.

Conclusie

De kwartiermakers zijn na uitgebreide gesprekken met alle relevante stakeholders bevestigd in hun overtuiging dat er in het veld grote behoefte bestaat aan een stevige impuls op het gebied van therapieontwikkeling, waarbij de onderlinge samenhang voldoende geborgd is. In het voorafgaande is deze gedachte vertaald in een concreet voorstel, dat in de komende drie jaar moet worden ingevuld. Ons advies aan de opdrachtgevende ministeries is om voortvarend aan de slag te gaan met het vormgeven van FAST. Wanneer nu gekozen wordt voor FAST, houden we het gunstige momentum vast.

5.

FAST: de eerste jaren

Met de voltooiing van dit rapport zit de eerste fase van het werk van de kwartiermakers erop. Wij hopen dat onze rapportage voldoende basis biedt om te kiezen voor een vlotte start van FAST. Door snel te beginnen met een aantal noodzakelijke acties, kan de FAST-organisatie vrij kort na de besluitvorming al worden opgebouwd. Zo kan reeds volgend jaar een aantal voorbeeld-projecten worden gefinancierd waarmee FAST een vliegende start kan maken.

In de werkrelatie merken betrokken organisaties en instellingen wat zij aan FAST kunnen hebben en wat FAST toevoegt aan het huidige landschap van innovatieve therapieontwikkeling. De organisatie in opbouw zal die beginperiode ook actief gebruiken om het veld op te zoeken en de dialoog aan te gaan. Daarnaast zal zij graag gebruik maken van de eerste 'oogst' van het Actie-programma 'Nieuwe kansen voor topsector Life Sciences & Health', die in november verwacht wordt.

Stap	Activiteit
1	Beslissing bekend maken aan alle stakeholders door het coördinerende ministerie
2	Opstellen concept convenant FAST
3	Bestuurlijke instemming met concept convenant
4	Ondertekening en publicatie in Staatscourant
4	Opbouwsubsidie FAST wordt verleend
5	Benoemen directeur FAST
6	Kwartiermaken FAST (ruimte, verbindingen, start werving (ca 5 FTE), grid cf format laten vullen, loketfunctie inrichten etc.)
6	Werven onafhankelijk voorzitter RvT FAST en selecteren zes leden RvT
6	Start bouw Veldexpertiseraad
7	Installeren RvT
8	Aftrapbijeenkomst Veldexpertiseraad samen met RvT
9 ev	Bouwen aan FAST cf. dit adviesrapport, om te beginnen een concretisering van de drie speerpunten in een programmavoorstel. Financiering van voorbeeldprojecten kan een vliegende start voor FAST betekenen.

Tabel 2 - Stappenplan startfase

FAST eerste stappen

Het bovenstaande stappenplan laat zien welke eerste stappen er vanaf een positief besluit moeten worden gezet. Parallelle trajecten hebben hier hetzelfde stapnummer. Het is gebruikelijk dat er bij betrokkenheid van meerdere ministeries één coördinerend ministerie is dat de uitvoering mede namens de andere ministeries uitvoert. Stappen 1-8 kennen een doorlooptijd van drie maanden en dan is FAST uit de startblokken. Ook voor het invullen van deze stappen zijn de kwartiermakers beschikbaar. Na de keuze voor FAST vindt immers pas het daadwerkelijke kwartiermaken in de zin van opzetten van de activiteiten plaats.

Eerste activiteiten en programma's

Het geheel van activiteiten zal in het begin uiteraard vooral gericht zijn op netwerkvorming en opbouw van de organisatie. Allereerst moet er een Veldexpertiseraad gevormd worden, als interface met het veld. Eveneens in een vroeg stadium zal begonnen worden met het vullen van de grids en het signaleren van kansen en knelpunten. Op het gebied van onderwijs rond therapieontwikkeling is er al een consortium actief dat plannen in een ver stadium van uitwerking heeft. Er bestaat brede consensus dat deze plannen de moeite waard zijn om daadwerkelijk uitgevoerd te worden. Hier kan dus in korte tijd nodige in gang worden gezet. Ook op het gebied van onderzoek naar regel-geving, een zeer actueel onderwerp nu Nederland gastheer is voor het EMA, zijn al belangrijke ontwikkelingen gaande.

Het is zeer aannemelijk dat er in deze opbouwfase gelden beschikbaar komen voor specifieke programma's, bijvoorbeeld op terreinen als translationeel onderzoek, regulatoir onderzoek of het ontwikkelen van nieuwe publieke financieringsconstructies. Als dat gebeurt, is dat voor FAST de perfecte gelegenheid om ervaring op te doen in het opzetten van samenhangende programma's met de samenwerkingspartners. Bij het ontwerpen en uitvoeren van zulke programma's zullen relevante veldpartijen uiteraard worden betrokken.

Groeiend budget

Al doende groeit het netwerk, worden de grids gevuld, wordt de loketfunctie versterkt, ontstaan er kansen. In overeenstemming met dit beeld wordt uitgegaan van een geleidelijke groei van het budget in de eerste jaren (zie bijlage 4). Met die input vanuit het netwerk wordt een begin gemaakt met het signaleren en agenderen van kansen en knelpunten. Ook op het gebied van onderwijs en initiatieven rond infrastructuur (bijvoorbeeld productiefaciliteiten) zullen ontwikkelingen in gang worden gezet. Aan de hand van de voortgang in het eerste jaar zal een beleidsplan worden ontwikkeld voor de jaren daarna. Het streven is om na drie jaar volledig 'op stoom' te zijn, compleet met een budget van tenminste 150 miljoen euro. Bijlage 4 geeft een globale schets van de mogelijke invulling.

Bijlage 1. Concept indeling convenant FAST

Als concretisering van de governance in hoofdstuk 4 volgt hier een globale opbouw van een convenant tussen de betrokken ministeries (VWS en EZK) en de gastheerorganisatie (ZonMw).

1. Partijen
   a. Coördinerend ministerie
   b. ZonMw
2. Oprichting regieorgaan FAST (hierna te noemen FAST)
3. Missie FAST
4. Taken FAST
5. Inrichting FAST
   a. RvT en uitvoeringsorganisatie
6. Waarborgen zelfstandige positie FAST binnen ZonMw
7. Tijdelijkheid FAST
   a. Periode 2020-2030
8. Financieel arrangement
   a. Regelen dat publieke geldstromen rond innovatieve therapieontwikkeling op de 3 speerpuntgebieden via FAST worden uitgezet.
   b. Regelen operationele kosten FAST
9. Wijziging en opzegging
10. Geschillenregeling
11. Slotbepalingen

Bijlage 2. Werken met grids

Gridmanager

In het kader van het kwartiermaken hebben we een prototype van de gridmanager laten maken en die uitgewerkt voor de casus Mexiletine. Aan de hand van screenshots krijgt u een beeld van de werking. Door te klikken op deze link https://fast-zonmw.tronit.nl/ krijgt u toegang tot de interactieve versie van het prototype. Het belangrijkste ontwerpcriterium was simpelheid (simpel te vullen en simpel te bedienen). De gridmanager kan partijen helpen om te navigeren door de Nederlandse infrastructuur op het gebied van: kennis, bedrijvigheid en financiering. Wanneer FAST start zal er op alle niveaus worden geïnventariseerd, zodat de gridmanager snel de databron is voor het ontsluiten van informatie rond innovatieve therapieontwikkeling in Nederland.

Casus Mexiletine

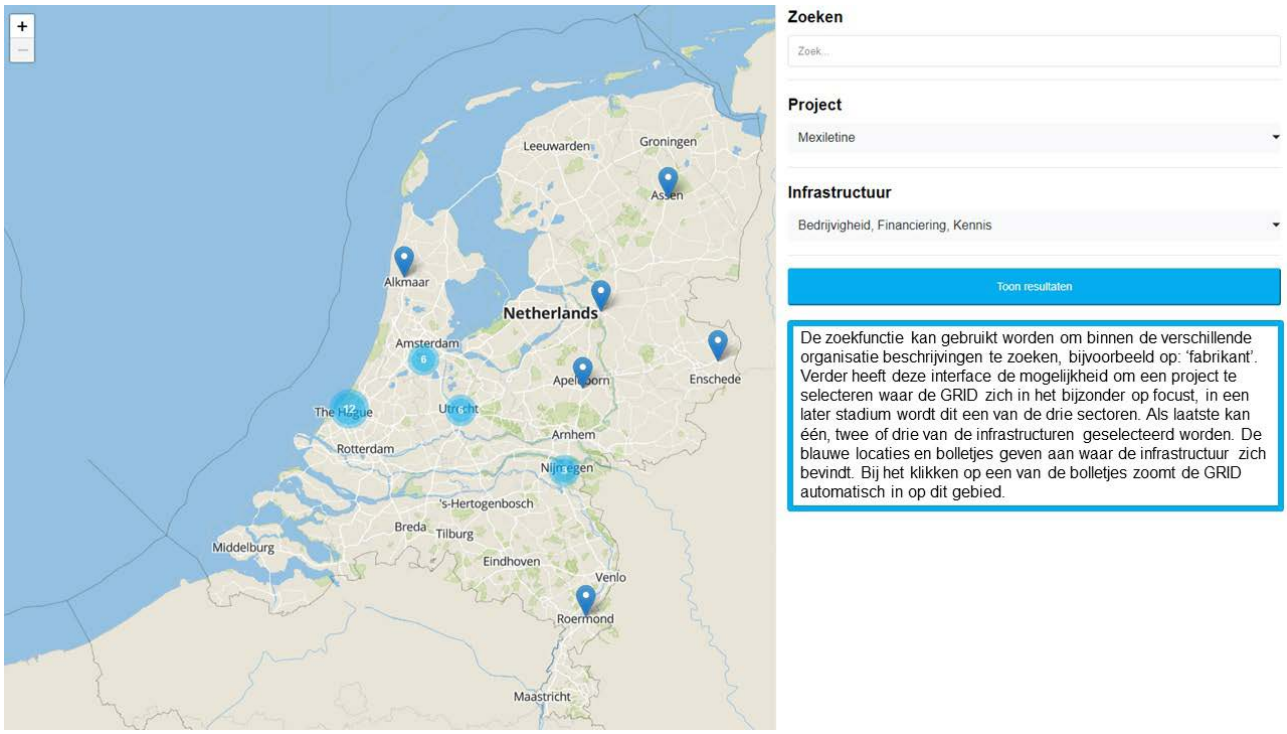
Mexiletine is oorspronkelijk een middel tegen hartritmestoornissen en is bewezen effectief gebleken bij de zeldzame spieraandoening niet-dystrofische myotonie (ongeveer 300 patiënten in Nederland). Kort nadat neuroloog Bas Stunnenberg (Radboud MC) zijn onderzoek publiceerde werd het product gepatenteerd voor deze zeldzame ziekte door de Lupin Pharmaceuticals. Dit nieuwe patent leidt tot een prijsverhoging van 2000%, van 4.000 euro naar 80.000 euro per patiënt per jaar. Deze prijsstijging is mogelijk door 'weesgeneesmiddelenstatus' die het verkregen heeft van het EMA, waardoor Lupin Pharmaceuticals tien jaar lang exclusief productierecht verkrijgt van het middel. In de omringende Europese landen is de prijs al verhoogd, in Nederland is de prijs nog onbekend maar eenzelfde prijsstijging wordt verwacht[36].

Naast het oplopen van de prijs voor het medicijn voor niet-dystrofische myotonie, wordt het middel ook steeds minder goed beschikbaar voor patiënten met hartritmestoornissen. Het product is voor fabrikanten minder aantrekkelijk om te produceren door dat het voorgeschreven wordt aan een steeds kleinere groep hartpatiënten. In Canada wordt dit echter nog wel gefabriceerd. In de oude situatie konden Nederlandse cardiologen dit product tegen de oude prijs krijgen vanuit Canada. Maar door de accreditatie van het product van Lupin Pharmaceuticals op de Nederlandse markt worden zij verplicht om het product van Lupin af te nemen, tegen de veel hogere nieuwe prijs.

Onderstaande grid is opgesteld vanuit het perspectief van de voorschrijvend en betrokken cardioloog, welke overheids- en kennisorganisatie en bedrijven zouden een rol kunnen spelen in het beschikbaar houden van Mexiletine voor hartpatiënten? Deze grid zou bijvoorbeeld kunnen helpen bij het opzetten van een eigen productielijn van het middel.

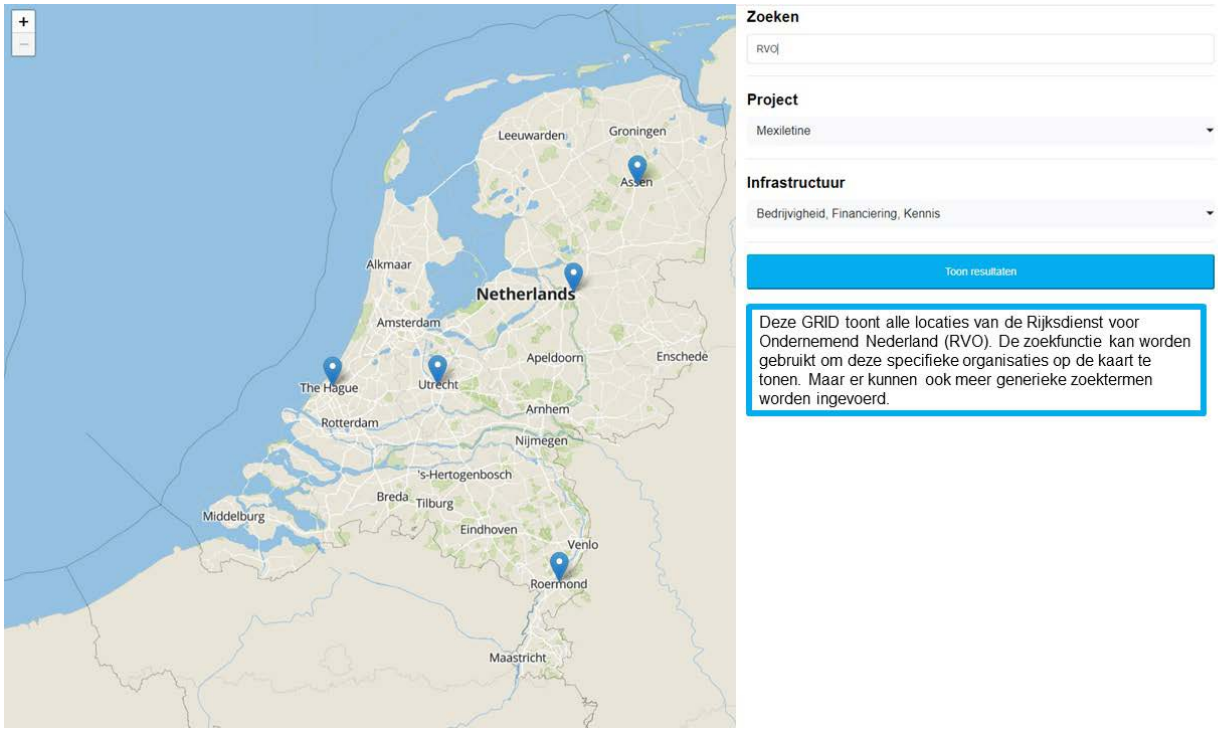
Screenshots van de gridmanager ter toelichting

Dit is de landingspagina.

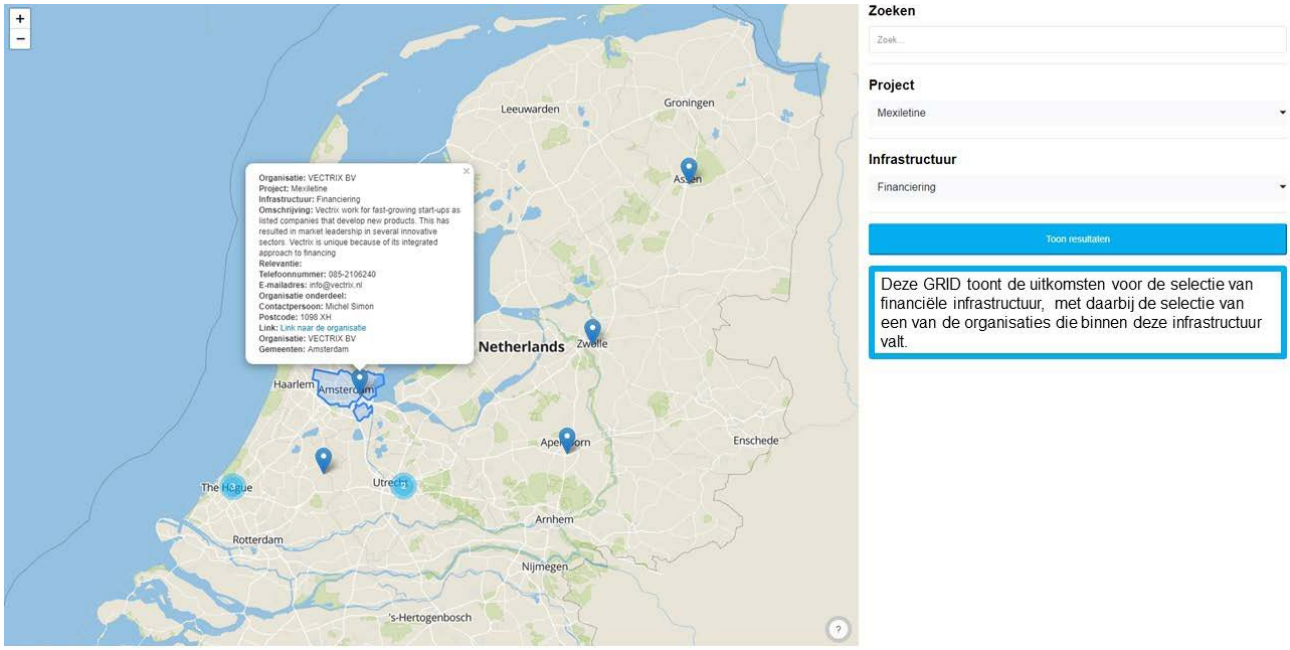


[36] *https://www.radboudumc.nl/nieuws/2019/radboudumc-bezorgd-over-toegankelijkheid-medicijn*

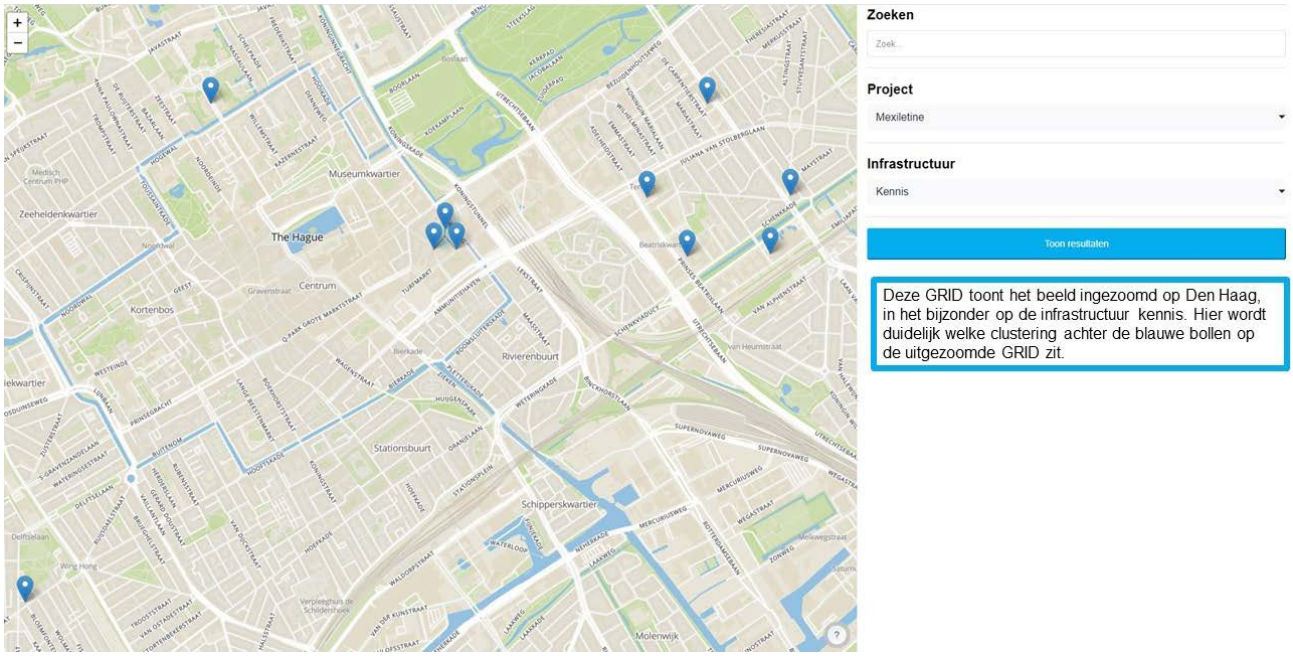
Waar is bijvoorbeeld RVO gevestigd?



Een voorbeeld van een resultaat van een zoekopdracht naar financiering



Een voorbeeld van een resultaat van een zoekopdracht naar kennis



En een niveau dieper

Bijlage 3. Gesprekspartners van de kwartiermakers waren afkomstig van onderstaande organisaties:

Ministerie van VWS

Ministerie van OCW

Top Team LSH

Amgen BV

Amsterdam Economic Board

CCMO

Centre for Human Drug Research

EATRIS

ErasmusMC

Fair Medicines

BOGIN

Patiëntenfederatie

Health Holland

HollandBio

Invest-NL

KNAW

Lygature

National Antibiotic Development Platform

NWO

Paul Janssen Future Lab

Radboud UMC

ReumaNederland

Sanquin

Technische Universiteit Twente

Universiteit Utrecht

Ministerie van EZK

Ambassadeur LSH-actieprogramma

Advisory Board Health~Holland

AMLUG BV

Amsterdam UMC-locatie AMC

CBG

DCRF

EMA

Facio-Therapies BV

FIGON

GGG-raad

KNMP

Health-RI

IKNL

Janssen Vaccines and Prevention B.V.

LUMC

Medical Delta

NFU

Oncode Instituut

Philips (High Tech Campus)

RegMedXB

Roessingh Research and Development

TNO

UMCG

Vereniging Innovatieve Geneesmiddelen (VIG)

ZonMw

Bijlage 4. Globale opbouw en verdeling van het FAST-budget

Onderstaande tabel geeft een globale indicatie hoe het FAST-budget zich kan ontwikkelen in de eerste drie jaar waarin de organisatie wordt opgebouwd.

Onderdeel	Activiteiten	Planning en indicatie budget (x miljoen euro)				
		2020	2021	2022	2023	2024
Uitvoeringsorganisatie			**5**	**7**	**10**	**10**
	Convenant organiseren					
	Organisatie, governance, financiële zaken, werkwijzers, medewerkers					
	Inrichten Raad van Toezicht en veldraad					
	Invulling kennis, expertise en financierings-grids					
	Onderhouden en uitbouwen grids					
	Opbouwen loketfunctie, invulling, ICT					
	Uitvoering loketfunctie					
	Begeleiden financiering en programmering					
	Opzetten en begeleiden infrastructuur trajecten					
	Organisatie Raad van Toezicht en veldexpertiseraad					
	Inhuren van experts op specifieke trajecten					
Programmering			**10**	**50**	**130**	**130**
	Uitwerken plan van aanpak kick-start financiering met RvT en veldexpertiseraad					
	Programmering kick-start projecten (laaghangend fruit), door ZonMw en Health~Holland, samen met veldpartijen					
	Financieren kick-startprojecten, door ZonMw en Health~Holland					
	Uitwerken plan van aanpak programmering met RvT en veldexpertiseraad					
	Programmering langetermijn seed-financiering en fund financiering door ZonMw, Health~Holland en InvestNL, met kaders vastgesteld door FAST, ism met veldpartijen					
	Uitvoeren programmering en financiering trajecten					
	Uitwerken plan van aanpak construct financiering					
	In praktijk brengen construct financiering					
Infrastructuur			**10**	**10**	**10**	**10**
	Uitwerken plan van aanpak infrastructuur financiering (bv incubator faciliteiten via Biopartner 2.0) samen met betrokken partijen					
	Uitvoeren infrastructuur financiering					
	Uitwerken plan van aanpak Regulatory Science					
	Uitvoeren plan van aanpak Regulatory science					
	Uitwerken plan van aanpak Human Capital (oa. onderwijs, begeleiden talent, netwerksubsidies)					
	Uitvoeren plan van aanpak Human Capital					
	Totaal indicatie budget		**25**	**67**	**150**	**150**

Bijlage 5. Lijst met afkortingen

ATMP	Advanced Therapy Medicinal Products
CRISPR-CAS9	clustered regularly interspaced short palindromic repeats (CRISPR)-Cas (CRISPR-associated proteins)
DCRF	Dutch Clinical Research Foundation
EATRIS	European infrastructure for translational medicine
EMA	European Medicines Agency
EUPATI	European Patients' Academy on Therapeutic Innovation
EZK	Ministerie van Economische Zaken en Klimaat
FAIR	findable, accessible, interoperable and reusable
FAST	Future Affordable and Sustainable Therapies
GMP	Good Manufacturing Practice
HealthRI	Health Research Infrastructure
LSH	Life Sciences & Health
KIA	Kennis- en Innovatie Agenda
KTO's	Kennistransferorganisaties
Medtech	medische technologie
NASA	National Aeronautics and Space Administration
NGI	Netherlands Genomics Initiative
NWA	Nationale Wetenschapsagenda
OCW	Ministerie van Onderwijs, Cultuur en Wetenschap
R&D	Research & Development, onderzoek en ontwikkeling
RegMed XB	Regenerative medicine crossing borders
RVO	Rijksdienst voor Ondernemend Nederland
TRL	Technology Readiness Level
VIB	Vlaams Instituut voor Biotechnologie
VSOP	Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties
VWS	Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport

Bijlage 6. Opdrachtbrief aan ZonMw

Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport

> Retouradres Postbus 20350 2500 EJ Den Haag

ZonMw
T.a.v. de heer prof. dr. J. Geurts, voorzitter
Postbus 93245
2509 AE DEN HAAG

Directoraat-Generaal Curatieve Zorg
Directie Geneesmiddelen en Medische Technologie

Bezoekadres
Parnassusplein 5
2511 VX Den Haag
T 070 340 79 11
F 070 340 78 34
www.rijksoverheid.nl

Inlichtingen bij
Kruger, P.P. (Patrick)
Beleidscoördinator
T (070)-3406876
M (31)-611585033
pp.kruger@minvws.nl

Kenmerk
1595033-197095-GMT

Uw brief

Bijlage(n)

Correspondentie uitsluitend richten aan het retouradres met vermelding van de datum en het kenmerk van deze brief.

Datum 20 FEB. 2020
Betreft Opdrachtbrief FAST

Geachte heer Geurts,

Dank voor uw contourenschets voor een nationaal platform ter stimulering van therapieontwikkeling Future Affordable and Sustainable Therapies (FAST).
In die schets heeft u inzichtelijk gemaakt waar mogelijke kansen liggen, die de (Nederlandse) patiënten, de economie en de wetenschap ten goede komen. Aanleiding voor u om de contourenschets voor de vorming van Future Affordable and Sustainable Therapies (FAST) aan ons aan te bieden zijn de mogelijkheden die u ziet om op het terrein van innovatieve therapieontwikkeling meer samenhang te creëren door initiatieven op het gebied van infrastructuur, scholing en R&D projecten beter te verbinden.

Ik zie, samen met de staatssecretaris van Economische Zaken en Klimaat, FAST als het platform om innovatieve therapieontwikkeling binnen Nederland verder te stimuleren waarbij innovatie en duurzaamheid, beschikbaarheid en betaalbaarheid hand in hand dienen te gaan. We willen die initiatieven steunen die daarbij passen. Denk daarbij ook aan toekomstige therapieën zoals gentherapie, celtherapie en regeneratieve geneeskunde waar in de komende jaren met big data en artificiële intelligentie nieuwe manieren van wetenschappelijk onderzoek mede zullen leiden tot ontwikkeling van innovatieve therapieën. Mede namens de staatssecretaris van Economische Zaken en Klimaat reageer ik op uw contourenschets en geef ik aan hoe dit initiatief verder gebracht kan worden.

FAST zal het Life Science & Health ecosysteem op het terrein van innovatieve therapieontwikkeling versterken door samenhang aan te brengen in de inzet van stimulerende instrumenten die we nu al in Nederland hebben. Hierbij dienen innovatie en betaalbaarheid hand in hand te gaan. Samen met de relevante stakeholders kan innovatieve therapieontwikkeling in Nederland verder gestimuleerd worden met de uitgangspunten van betaalbaarheid, beschikbaarheid en duurzaamheid. Op deze wijze worden economische kansen voor Nederland en de wetenschappelijke kansen voor kennisinstellingen optimaal benut en dienen we het belang van een betaalbare gezondheidszorg. FAST beoogt daarmee een nationaal platform te worden om -met de relevante stakeholders- innovatieve therapieontwikkeling te bevorderen. Het FAST-platform dient een structureel karakter te krijgen om zo continuïteit en samenhang van overheidsstimuleringen

Directoraat-Generaal Curatieve Zorg
Directie Geneesmiddelen en Medische Technologie

Kenmerk
1595033-197095-GMT

voor het LSH-ecosysteem te garanderen. Verder is het van belang om na te denken over het stimuleren van therapieontwikkeling die wetenschappelijk gezien wel mogelijk is en waar maatschappelijk een behoefte aan is, maar door bedrijven niet of te weinig opgepakt wordt. Ik denk hier bijvoorbeeld aan de ontwikkeling van nieuwe antibiotica. Maar ook aan de kansen die drug rediscovery – het toepassen van een bestaand geneesmiddel bij een nieuwe indicatie – te bieden heeft voor de patiënt.

Door een platform als FAST kan er meer samenhang gecreëerd worden om dit, ook in internationaal verband, op te pakken. Bijvoorbeeld door met oplossingen te komen hoe bedrijven te verleiden zijn om duurzaam therapieën te ontwikkelen die nu niet opgepakt worden terwijl wetenschappelijk gezien er wel mogelijkheden liggen en waar ook maatschappelijke behoefte aan is. Of hoe de publieke rol beter ingevuld kan worden om zo die therapieën beschikbaar voor de patiënt te krijgen. Nederland kan daarbij een voortrekkersrol vervullen waarbij innovatie en betaalbaarheid en duurzaamheid worden samengebracht. De platform functie van FAST zal zich met name richten op het structureel samenbrengen van relevante expertise op het gebied van innovatieve therapieontwikkeling. ZonMw stelt daarbij drie programmalijnen voor in haar contouren schets: (1) Versterken van infrastructuur en onderwijs op het gebied van innovatieve therapieontwikkeling; (2) R&D activiteiten op strategische speerpunten, en; (3) een strategische verkenning van huidige ontwikkelingen en toekomstige kansen. Het vertrekpunt voor FAST is om bestaande programma's meer in regie in te zetten en de relevante expertise die in het platform bijeen wordt gebracht te ontsluiten.

Als we, zoals u ook schetst, op geselecteerde gebieden van therapieontwikkeling een vooraanstaande positie willen krijgen in het internationale speelveld dan zullen we met een duidelijke focus, krachtig en meer structureel moeten gaan investeren. Mijn ideaalbeeld is dat FAST bijdraagt aan een LSH-ecosysteem in Nederland waar innovatie, betaalbaarheid en duurzaamheid hand in hand gaan en zo ook een voorbeeldfunctie binnen het internationale LSH-ecosysteem kan worden.

Uw contourenschets geeft voldoende aanleiding om dit plan verder door u uit te laten werken. Ik voorzie een eerste fase ('kwartiermaken') waarin het plan voor het te vormen platform verder wordt uitgewerkt en een tweede fase waarin – op basis van het plan – de platform functie van FAST operationeel wordt gemaakt.

Omdat ik de ambitie heb om innovatieve therapieontwikkeling verder te stimuleren in het publiek-private domein geef ik u de opdracht om een kwartiermaker te benoemen en te huisvesten die de contourenschets van FAST verder uit kan werken. Ik wil dat u in het voorstel uitwerkt wat een juiste partij is om FAST fysiek onder te brengen. En hoe FAST structureel zijn platform functie kan vervullen in het LSH-ecosysteem. De rol van ZonMw is nu de kwartiermaker zo te faciliteren dat deze zijn opdracht goed kan uitvoeren.

Het is van belang om FAST goed in het LSH-ecosysteem en in de relevante bestuurlijke gremia te borgen. Dit betekent dat het opdrachtgeverschap van FAST ook gedragen zal worden door de ministeries van VWS en EZK. Mijn insteek is om geen nieuwe organisatie op te richten.

Directoraat-Generaal Curatieve Zorg
Directie Geneesmiddelen en Medische Technologie

Kenmerk
1595033-197095-GMT

Verder zal voor FAST een goede aansturings- en rapportagelijn met de betrokken ministeries geregeld moeten worden, zodat in de governance geborgd wordt dat de doelstellingen van de opdrachtgevers – zowel qua economische kansen als wel op het gebied van duurzame betaalbaarheid - goed bediend worden. Dat vergt zorgvuldige aandacht voor processen, maken van keuzes en besluitvorming.

De staatsecretaris van EZK heeft, samen met de minister voor MZS, mevrouw Ross-van Dorp benoemd als ambassadeur voor het opstellen en het uitvoeren van een actieprogramma dat gericht is op versterking van het LSH-ecosysteem in Nederland. Achtergrond is de komst van Europees Geneesmiddelen Agentschap (EMA) naar Nederland en de kansen die dit kan bieden voor de versterking van het LSH-ecosysteem. Zij is tevens ambassadeur van FAST en heeft daarmee ook een aanjagende functie voor FAST.

Topsector LSH heeft als doel het stimuleren van publiek-private samenwerking binnen en tussen de Topsectoren, gericht op het benutten van de economische kansen van de maatschappelijke uitdagingen op het thema Gezondheid & Zorg. Bij de uitwerking van de opdracht voor FAST, vraag ik de kwartiermaker om de inhoudelijke plannen en de inbedding/governance van het platform op regelmatige basis te bespreken met het topteam van de Topsector LSH en de ambassadeur. De uiteindelijke besluitvorming over het plan en inbedding/governance van het platform ligt bij de betrokken ministeries.

Ik verzoek de kwartiermaker dan ook om in samenwerking met de ambassadeur mevrouw Ross-van Dorp en op basis van het plan voor FAST dat ontwikkeld wordt, tevens een voorstel uit te werken, hoe FAST ingebed kan worden in het Nederlandse LSH-ecosysteem en er meer samenhang aangebracht kan worden met andere lopende agenda's, programma's en uitvoeringen.

Ik wil u vragen daarbij actief de betrokken stakeholders, waaronder Health~Holland, Lygature, de NFU, KNAW, VSNU, Oncode, Regmed XB en NFIA en regionale partners te betrekken. Ook de EMA en haar strategische agenda dient daarbij betrokken te worden.

Ik wil u de volgende kaders meegeven voor het kwartiermakerschap. Tevens vraag ik u om bepaalde zaken specifiek uit te werken.

I Kaders

1) Afbakening

a) Bij het vormgeven van FAST dient het uitgangspunt dat innovatie en betaalbaarheid hand in hand gaan, altijd leidend te zijn. Houdt daarbij rekening in het ontwerpen van processen, criteria, voorwaarden, financiering en besluitvorming.

b) FAST heeft aangegeven zich te richten op innovatie therapieontwikkeling op drie gebieden: personalised medicine, weesgeneesmiddelen en regeneratieve geneeskunde. Ik vraag nadrukkelijk om bij de verdere uitwerking ook ontwikkelingen op onder andere het terrein van medische hulpmiddelen, big data en artificiële intelligentie mee te nemen.

Directoraat-Generaal Curatieve Zorg
Directie Geneesmiddelen en Medische Technologie

Kenmerk
1595033-197095-GMT

2) Relatie van FAST met het Actieprogramma 'Nieuwe kansen voor Topsector LSH'

a) De komst van het Europees Geneesmiddelen Agentschap (EMA) naar Nederland is een unieke kans om het Nederlandse LSH-ecosysteem te versterken. Mede door het sterke Nederlandse onderzoeksveld, aanwezige infrastructuur en bedrijvigheid heeft Nederland veel potentie om een vooraanstaande positie in te nemen in Europa op het terrein van geneesmiddelontwikkeling.

b) Afgelopen najaar is de Tweede Kamer geïnformeerd over de voortgang van het Actieprogramma 'Nieuwe kansen voor Topsector LSH'. In het kader van dit actieprogramma gaat Clémence Ross-van Dorp namens EZK en VWS aan de slag als ambassadeur. Ik vraag u om in nauwe afstemming met deze ambassadeur FAST verder vorm te geven als onderdeel van het actieprogramma en te adviseren waar FAST een structurele oplossing kan zijn voor acties die de ambassadeur formuleert vanuit het actieprogramma. Ook daarbij geldt het uitgangspunt 1a).

3) Nederlandse ambitie LSH-sector versus internationale LSH sector

a) Ik vraag u om aan te geven hoe FAST zich positioneert in het internationale speelveld en samen zal werken met organisaties die hier al actief op zijn als Invest in Holland en NFIA.

4) Positionering van FAST in relatie tot topsector LSH

a) Ik vraag u te beschrijven hoe FAST kan worden gepositioneerd in relatie tot de activiteiten van Topsector LSH en waar FAST-leemtes kan opvullen die nu onvoldoende aandacht krijgen.

b) Topsector LSH werkt nu missie-gedreven. Ik zie voor FAST raakvlakken met de submissie missie 3 en 4, te weten:

i) In 2030 is van de mensen met een chronische ziekte of levenslange beperking het deel dat naar wens en vermogen kan meedoen in de samenleving met 25% toegenomen.

ii) In 2030 is de kwaliteit van leven van mensen met dementie met 25% toegenomen.

Daarnaast is er een topsector brede kennis en innovatie agenda voor sleuteltechnologieën waarop FAST kan aansluiten. Vraag is om inzichtelijk te maken hoe FAST zich binnen deze submissies en binnen de KIA-sleuteltechnologieën kan positioneren.

Directoraat-Generaal Curatieve Zorg
Directie Geneesmiddelen en Medische Technologie

Kenmerk
1595033-197095-GMT

II Governance en structuur:

5) Voorstellen voor een adequate governance structuur.

a) De insteek dient te zijn om geen nieuwe organisatie op te richten. Het inrichten van de governance zal zo vorm gegeven moeten worden, dat daarmee geborgd wordt dat de doelstellingen van de opdrachtgevers op het gebied van innovatieve therapie ontwikkeling bediend worden.

b) Voor FAST zal een goede aansturings- en rapportagelijn met de betrokken ministeries geregeld moeten worden. De kwartiermaker dient hier, in samenspraak met de ministeries, een voorstel voor te doen.

c) Ik vraag u een adequate governance structuur uit te werken waarin de taken, verantwoordelijkheden en bevoegdheden van FAST duidelijk worden beschreven. In de governance structuur dient ook duidelijk te worden aangegeven hoe FAST zich verhoudt tot en samenwerkt met topsector LSH, Health~Holland, het Invest in Holland LSH-team en andere LSH-initiatieven zoals Oncode en Regmed XB.

6) FAST en bureau/secretariaatsfunctie

Ik vraag u om uit te werken hoe en waar er een logische plek voor inbedding van FAST is, wat de capaciteit, bijvoorbeeld in menskracht dient te zijn

III Uitwerken en benutten van kansen:

7) Controle van de prioriteiten in de schets.

a) U noemt een aantal kansrijke gebieden waar we als Nederland met FAST op in kunnen zetten. Ik wil u vragen om in samenwerking met de ambassadeur Clémence Ross-van Dorp, het topteam van topsector LSH en bestaande scans en analyses van relevante stakeholders als KNAW, NFU, alsook HollandBIO en VIG, te betrekken in de prioritering. Ik wil u ook wijzen op het werk van TNO op het gebied van geneesmiddelenontwikkeling, het sleuteltechnologiebeleid van EZK, het OCW-beleid inzake grootschalige researchinfrastructuur.

b) Verder vraag ik u aan te geven hoe u de prioritering van kansrijke gebieden gedurende de looptijd van FAST continu zal herijken. Dus minder een inventarisatie zoals u in u schets beschrijft maar vooral een cyclische vorm van evaluatie en bijsturing.

8) Werkplan

a) Ik zie graag een concrete uitwerking van de ambitie van FAST om het gehele proces van innovatieve therapieontwikkeling te gaan overzien, hoe FAST zicht blijft houden op welke onderzoeksgroepen welke mogelijkheden hebben, hoe FAST actief kan bijdragen aan het ontwikkelen van infrastructuur en onderwijs (human capital) en hoe u vanuit een heldere, breed gedragen strategie kan bijdragen aan een samenhangend programma van R&D activiteiten.

Directoraat-Generaal Curatieve Zorg
Directie Geneesmiddelen en Medische Technologie

Kenmerk
1595033-197095-GMT

We vragen van u om dit werkplan meer gedetailleerd voor de komende drie jaar uit te werken.

b) Bij de verdere uitwerking van FAST, vraag ik u om –waar mogelijke- de ervaringen en geleerde lessen rondom grote (FES)-programma's uit het verleden, zoals bijvoorbeeld het Netherlands Genomics Initiative (NGI), CTMM en TI Pharma, mee te nemen.

IV Financiering:

9) Verdere uitwerking van bestaande middelen.

a) In uw contourenschets en mijn Kamerbrief over inzicht in collectieve middelen voor medicijnontwikkeling staat uiteengezet waar de Rijksoverheid in investeert wat betreft therapieontwikkeling. In de uitwerking zal duidelijk moeten worden gemaakt hoe FAST hier meer samenhang creëert waarbij de gekozen speerpunten van FAST zoals u nu noemt in de schets in eerste instantie leidend zullen zijn.

b) Verdere uitwerking van benodigde instrumenten en omvang van het FAST-platform. Het zal concreet moeten worden gemaakt wat de financiële omvang van FAST zal moeten zijn om de doelen te kunnen bereiken. Dit vereist inzicht in de financiële impact van de verschillende voorgestelde programmaonderdelen. Ik wil dat u hier een voorstel voor doet.

V Planning:

1. Ik vraag u om in het derde kwartaal van 2020 te komen met een uitwerking van het platform langs de volgende onderdelen: aanleiding – urgentie – doelstelling –impact - activiteiten – beoogde governance – financiering.

2. Na ontvangst van het plan (=eindproduct van de kwartiermaker) van FAST zal er een gewogen oordeel volgen door mij en mijn collega-bewindspersonen op de verschillende doelen/missies van dit kabinet en de betrokken departementen. De kwaliteit van het werk dat de kwartiermaker doet, het draagvlak voor de uitwerking van FAST door de huidige actoren in het LSH-ecosysteem en het vertrouwen dat partijen hebben in FAST om zo onze ambitie te gaan realiseren en de financiële mogelijkheden zullen een belangrijk onderdeel zijn van de besluitvorming of FAST daadwerkelijk kan starten of niet. Ik streef naar een besluit over FAST in het vierde kwartaal van 2020.

3. Ik zie verder graag dat u periodiek aan de ambtelijke vertegenwoordiging van de ministeries over de voortgang van het kwartiermaken rapporteert.

U vraagt in uw brief om een aanloopbudget waar ook ruimte is om aanloopprojecten te financieren. In dit stadium wil ik nog niet vooruitlopen op het starten en financieren van individuele aanloopprojecten, voordat definitieve besluitvorming over FAST heeft plaatsgevonden. Uiteraard bestaat de mogelijkheid om binnen de grenzen van uw lopende opdrachten op het gebied van therapieontwikkeling meer samenhang aan te brengen in de diverse programma's en projecten die u noemt als voorbeeldproject te financieren uit bestaande programmabudgetten van ZonMw.

Uw vraag om een kwartiermaker te installeren en daarvoor budget beschikbaar te stellen wil ik daarom graag honoreren. De kwartiermaker kan binnen de contouren die u geschetst heeft en die ik in deze brief benoem en in samenspraak met de relevante stakeholders de voorbereiding tot FAST verder opbouwen en uitwerken. Het rapport dat de kwartiermaker oplevert zal de basis zijn voor de besluitvorming van de start van FAST. Ik vraag u om het rapport in het derde kwartaal van 2020 op te leveren.

Directoraat-Generaal Curatieve Zorg
Directie Geneesmiddelen en Medische Technologie

Kenmerk
1595033-197095-GMT

Voor het kwartiermakerschap stellen de staatsecretaris en ik 250.000 euro in 2020 beschikbaar. Ik zal het meerjarige uitgaven- en verplichtingenplafond van ZonMw verhogen voor dit programma. U ontvangt hierover een aanvullend schrijven op mijn brief van 10 december 2019, kenmerk 1596883-197246-BPZ, inzake de goedkeuring Jaarplan en begroting 2020 ZonMw. Tevens zijn de werkafspraken planning & control VWS, NWO en ZonMw van toepassing.

Ik wil u succes wensen met het kwartiermakerschap om zo FAST, het nationaal platform ter stimulering van therapieontwikkeling, vorm te geven. Ik heb er vertrouwen in dat FAST zal bijdragen aan een bloeiend LSH-ecosysteem in Nederland. Een LSH-ecosysteem waar bijdrages worden geleverd aan nieuwe therapieën, economische groei, een bloeiend onderzoek klimaat aan de kennisinstellingen op de nieuwste biomedische technieken en deze innovatie therapieën beschikbaar komen voor de patiënt.

Hoogachtend,

de minister voor Medische Zorg
en Sport,

Bruno Bruins