

Toegankelijkheid van weesgeneesmiddelen in Nederland



Hoeveel worden er wel of niet vergoed?

hollandbio

Wat zijn weesgeneesmiddelen?

Weesgeneesmiddelen zijn medicijnen voor ernstige **zeldzame ziekten** die in minder dan **5 op de 10.000 mensen** voorkomen.

→ 1 op de 17 mensen in de EU heeft een zeldzame ziekte.

→ Er zijn meer dan 6.000 verschillende zeldzame ziekten bekend.



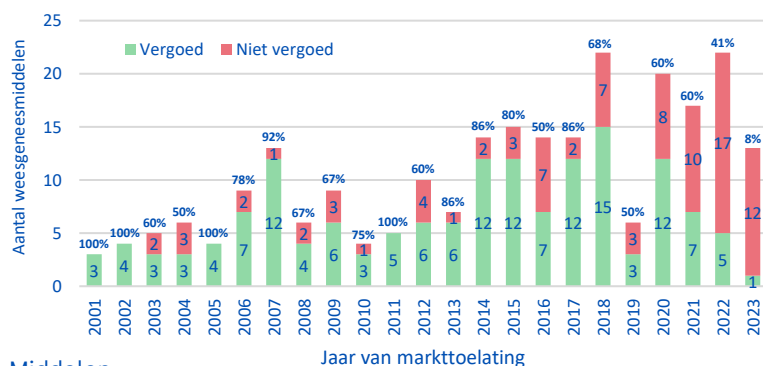
Hoe ziet het toegangstraject eruit?

1. De Europese Commissie (EC) beslist of een geneesmiddel een **weesgeneesmiddelstatus** ontvangt.
2. De European Medicines Agency (EMA) stelt het type registratie vast.
3. Na een (voorwaardelijke) **marktvergunning** kan Nederland via verschillende routes **vergoeding** worden toegekend:

Intramuraal
(Add-on)

Extramuraal
(GVS)

Hoeveel weesgeneesmiddelen zijn vergoed in Nederland?



Middelen geregistreerd door het

MKB (33%)

worden **minder vaak vergoed** dan middelen geregistreerd door grotere ondernemingen (65%).

Middelen met een normale of versnelde marktvergunning (76%) worden vaker vergoed dan middelen met een

voorwaardelijke marktvergunning

(32-50%).

Van de **242 weesgeneesmiddelen*** EMA-geregistreerd tussen 2001 en 2023 is

61% vergoed.

*exclusief indicatie-uitbreidingen

Type EMA-registratie	Type vergoeding		Percentage vergoed
	GVS	Add-On	
Alle	92	60	61% (152/242)
Regular (only orphan)	45	36	76% (81/106)
Additional monitoring	40	17	50% (57/115)
Conditional approval	6	3	32% (9/28)
Exceptional circumstances	8	6	47% (14/30)
Accelerated assessment	12	7	78% (19/25)

Wat leren we hiervan?

In 2023 ontvingen **12 nieuwe middelen** vergoeding.

1 Niet alle EMA-geregistreerde middelen vinden hun weg naar Nederland.

2 Niet alle vergoedingsverzoeken worden (direct) gehonoreerd.

3 Het type marktvergunning en bedrijf lijken de kans op vergoeding te beïnvloeden.

