

# 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 in Nederland via verschillende routes **vergoeding** worden toegekend:

Intramuraal  
(Add-on)

Extramuraal  
(GVS)

## Hoeveel weesgeneesmiddelen zijn vergoed in Nederland?



Middelen geregistreerd door het

**MKB** (25%)

worden **minder vaak vergoed** dan middelen geregistreerd door grotere ondernemingen (62%).

Middelen met een normale of versnelde marktvergunning (75%) worden vaker vergoed dan middelen met een

**voorwaardelijke marktvergunning**

(21-47%).

Van de **256 weesgeneesmiddelen\*** EMA-geregistreerd tussen 2001 en 2024 is

**60% vergoed.**

\*exclusief indicatie-uitbreidingen

Type EMA-registratie	Type vergoeding		Percentage vergoed
	Add-on	GVS	
Alle	93	61	60% (154/256)
Regular (only orphan)	49	36	75% (85/113)
Additional monitoring	37	20	46% (57/124)
Conditional approval	4	2	21% (6/28)
Exceptional circumstances	9	6	47% (15/32)
Accelerated assessment	11	7	75% (18/24)

## Wat leren we hiervan?

In 2024 ontvingen **7 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.

