

Toegankelijkheid van weesgeneesmiddelen in Nederland



Hoeveel zijn 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.



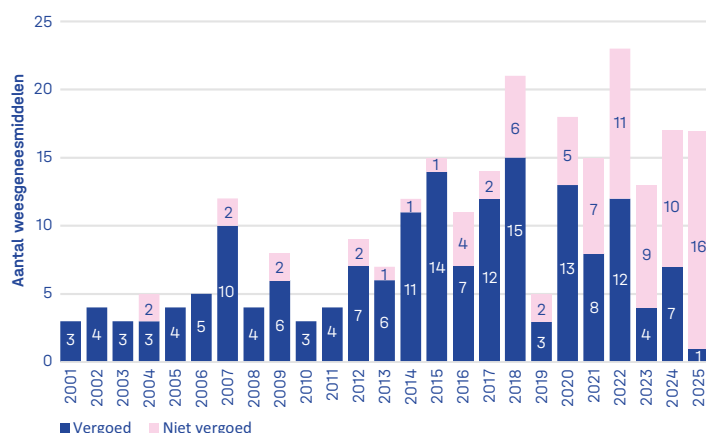
Hoe ziet het toegangstraject eruit?

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?



Van de **251 weesgeneesmiddelen**** met een Europese handelsvergunning, is

57% vergoed.

**exclusief indicatie-uitbreidingen

Middelen geregistreerd door het

MKB (25%)

worden **minder vaak vergoed** dan middelen geregistreerd door grotere ondernemingen (69%).

Middelen met een

voorwaardelijke marktvergunning

(5%) worden het minst vergoed en middelen die onder bijzondere omstandigheden zijn geregistreerd (67%) juist het vaakst.

In 2025 ontvingen

17 nieuwe middelen vergoeding.

Type registratie	Type vergoeding		Percentage vergoed*
	GVS	Add-on	
Alle	66	109	57%
Regular (only orphan)	40	54	34%
Additional monitoring	21	47	56%
Conditional approval	1	5	5%
Exceptional circumstances	6	12	67%
Accelerated assessment	7	12	58%
ATMP	0	8	44%

*Sommige middelen zijn zowel extramuraal (GVS) als intramuraal (add-on) vergoed; kolomtellingen tellen daarom niet op tot het totaal.

Wat leren we hiervan?

1 Niet alle EMA-geregistreerde weesgeneesmiddelen 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.

