

Vergaderjaar 1999–2000

**26 800 XVI**

## **Vaststelling van de begroting van de uitgaven en de ontvangsten van het Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport (XVI) voor het jaar 2000**

**Nr. 80**

### **BRIEF VAN DE MINISTER VAN VOLKSGEZONDHEID, WELZIJN EN SPORT**

Aan de Voorzitter van de Tweede Kamer der Staten-Generaal

Den Haag, 31 maart 2000

#### **Inleiding**

Op 28 april 1997 heb ik de Raad voor Gezondheidsonderzoek (RGO) gevraagd mij te adviseren over coördinatie, prioritering en bevordering van onderzoek in Nederland op het terrein van de weesgeneesmiddelen, geneesmiddelen voor zeldzame ziektes. Dit advies heb ik op 10 april 1998 ontvangen en met veel waardering gelezen. Alvorens ik u mijn standpunt geef over de aanbevelingen in het advies, schets ik de achtergronden en relevante ontwikkelingen op dit terrein.

#### **Zeldzame ziektes en de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen**

De frequentie van vóórkomen van sommige ernstige chronisch-invaliderende of, op termijn, dodelijke ziektes en aandoeningen kan zeer laag zijn, soms zelfs in de orde van grootte van enkele tientallen patiënten in de totale Nederlandse bevolking. Deze ziektes kunnen vanaf de geboorte of pas op (jong) volwassen leeftijd manifest zijn en naar schatting is 80% erfelijk bepaald. Wereldwijd schat men het aantal ziektes met geringe frequentie van vóórkomen op 5000 tot 6000 waarbij in veel gevallen precieze informatie over aantallen patiënten ontbreekt. Vanwege een aantal redenen zijn er tot op heden weinig geneesmiddelen voor zeldzame ziektes ontwikkeld. Ik noem er hiervan enkele. De oorzaken van ontstaan en eventuele aangrijpingspunten voor behandeling van zeldzame ziektes zijn vaak niet of onvoldoende bekend. De ontwikkeling van een innovatief geneesmiddel is, ook bij een veel voorkomende ziekte, complex, langdurig en kostbaar. Klinische trials met grote patiëntengroepen vormen hierbij een belangrijke kostenfactor, naast reclame, marketing en postmarketing surveillance. Men schat dat thans 90% van alle geneesmiddelen wordt ontwikkeld door de farmaceutische industrieën. De keuzes die een farmaceutisch bedrijf maakt om een bepaald geneesmiddel te ontwikkelen zijn vooral gebaseerd op de verwachte omzet, waarbij hoge ontwikkelingskosten terug verdiend moeten worden.

In het geval van een zeldzame ziekte en de ontwikkeling van een geneesmiddel is de kleine afzetmarkt een belemmering. De preklinische fase van een weesgeneesmiddel blijft kostbaar, ondanks de recente snelle toename in kennis van genetische achtergronden en biotechnologie. Het geringe aantal patiënten per zeldzame ziekte speelt een rol, het kan tot moeilijkheden leiden bij het uitvoeren van klinische studies en daardoor tot vertraging in de uiteindelijke registratie van een werkzaam en effectief geneesmiddel. Zelfs in de fase van klinisch onderzoek kan een industrie daarom afzien van de verdere ontwikkeling van een bepaald weesgeneesmiddel. Tegen deze nadelige factoren kan men stellen dat er geen kosten door grote trials zullen zijn en dat reclame en marketing doelgericht kunnen zijn.

In de Verenigde Staten heeft men deze problematiek al eerder erkend en stimuleert men de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen op een aantal manieren. Sinds 1983 is een wet van kracht (de Orphan Drug Act) die onafhankelijke wetenschappers en farmaceutische industrieën stimuleert geneesmiddelen te ontwikkelen voor zeldzame ziektes. Deze wet bepaalt dat een geneesmiddel vanaf een bepaalde fase de zogenoemde «orphan drug designation» (aanwijzing als potentieel weesgeneesmiddel) kan krijgen. De aanwijzing vindt plaats door het Office of Orphan Products Development (OPD) ondergebracht bij de Food and Drug Administration (FDA), een federale overheidsinstelling. Zodra een potentieel geneesmiddel met deze aanwijzing daadwerkelijk op de markt komt, krijgt het de orphan drug status en wordt een aantal voordelen van kracht voor de producent, zoals het vervallen van registratiekosten, belastingaftrek voor onderzoeks- en ontwikkelingskosten en een zeven jaar durende markt-exclusiviteit. Vanaf 1984 is een groot aantal weesgeneesmiddelen op de markt gekomen.<sup>1</sup> Als negatief werd ervaren dat enkele weesgeneesmiddelen onvoorzien meer omzet behaalden ten gevolge van een aanzienlijk grotere markt dan aanvankelijk voorzien was.<sup>2</sup> Een andere federale instelling, de National Institutes of Health, heeft het Office of Rare Diseases (ORD) onder zijn hoede. Het ORD is vooral een coördinerende instantie en informatiepunt voor onderzoekers en behandelaars. Daarnaast bestaan er nog onafhankelijke organisaties voor informatie aan patiënten. Ook Japan, Singapore en Australië hebben inmiddels vergelijkbare orphan drugs wetgeving.

### **Het Europese beleid inzake weesgeneesmiddelen en zeldzame ziektes**

De Europese Commissie ontwikkelt, in overleg met Raad van Ministers en Europese Parlement, beleid inzake zeldzame ziektes en stimulering van de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen. Er is daartoe een communautair actieprogramma zeldzame ziektes opgesteld en een verordening inzake de weesgeneesmiddelen. Een belangrijke overweging in de visie van de Commissie is daarbij dat patiënten met zeldzame ziektes evenzeer recht hebben op een goede behandeling als patiënten met frequenter voorkomende ziektes. Het doel van de verordening is een gemeenschappelijke procedure vast te stellen om geneesmiddelen de status weesgeneesmiddel te verlenen en hierdoor indirect de ontwikkeling en het in de handel brengen van deze middelen te bevorderen. Een belangrijke overweging van de EU is voorts, dat initiatieven ter zake van weesgeneesmiddelen en zeldzame ziektes het beste op communautair niveau worden genomen om de schaalvoordelen te benutten en versnippering van de beperkte middelen te voorkomen. Het Europees Parlement en de Raad van de EU hebben op 16 december 1999 Verordening (EG) nr. 141/2000 inzake weesgeneesmiddelen aangenomen (zie Publicatieblad van de EG Nr L 18 van 22 januari 2000). Op 29 april 1999 hebben het Europees Parlement en de Raad van de EU Besluit nr 1295/1999/EG inzake het

<sup>1</sup> Inmiddels hebben 1001 middelen een «designation» en 200 een «approval for marketing». Bron: OPD/FDA, 7 februari 2000.

<sup>2</sup> Ondanks bezwaren van het ministerie van gezondheid werd een voorstel tot wetswijziging door het Congres ingediend. Het voorstel kreeg echter in 1992 een presidentieel veto.

communautaire actieprogramma zeldzame ziekten binnen het actiekader op het gebied van de volksgezondheid (1999–2003) vastgesteld (zie Publicatieblad van de EG Nr. L 155 van 22 juni 1999). Hoewel het hier twee onderscheiden zaken betreft (het actieprogramma is een stimuleringsprogramma met een budget van 6,5 miljoen Euro voor 1999–2003 en de verordening heeft betrekking op Europese regelgeving), is er echter ook duidelijk samenhang tussen beide. Het begrip zeldzame ziekte wordt bijvoorbeeld op dezelfde wijze gedefinieerd en beide documenten verwijzen in hun respectievelijke tekst naar elkaar.

In de praktijk zal een farmaceutisch bedrijf voor zijn product een aanvraag moeten indienen tot aanwijzing als weesgeneesmiddel bij een nog op te richten comité (toegevoegd aan het Europese bureau voor registratie van geneesmiddelen, EMEA te Londen). Naast het beoordelen van aanvragen zal dit comité adviezen kunnen geven aan bedrijven bij het opstellen van onderzoeksprotocollen en het opstellen van registratieaanvragen. Daarnaast zal het de Europese Commissie adviseren over algemene aspecten omtrent het weesgeneesmiddelenbeleid in de EU. De Commissie geeft in de verordening ook aan dat ieder land zelf stimuleringsmaatregelen moet nemen en daar op gezette tijden verslag van moet uitbrengen. Het communautaire actieprogramma heeft als doel het leveren van een bijdrage, in de vorm van subsidies, aan het bereiken van een hoog niveau van bescherming van de gezondheid in verband met zeldzame ziektes, in het bijzonder door acties gericht op voorlichting, ondersteuning van patiëntenorganisaties en organisaties van familieleden van patiënten en acties ter behandeling van clusters van zeldzame ziektes.

### **De aanbevelingen in het RGO-advies**

De RGO geeft als eerste aanbeveling het laten opzetten en tien jaar lang ondersteunen van een onafhankelijke nationale organisatiestructuur orphan drugs met als doel het bevorderen van gebieden waar Nederland al langere tijd sterk in is: fundamenteel onderzoek, klinisch onderzoek en samenwerking met patiëntenverenigingen en groeperingen. Idealiter zouden zo voldoende voorwaarden gecreëerd moeten worden voor Nederlandse bedrijven om daadwerkelijk weesgeneesmiddelen op de markt te kunnen brengen. In een centrale stuurgroep zouden vertegenwoordigers van betrokken partijen – onder wie onderzoekers en behandelaren, patiëntenverenigingen, farmaceutische bedrijven, verzekeraars, het College voor Zorgverzekeringen, het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen en waarnemers van betrokken ministeries (OC en W, EZ en VWS) moeten participeren. Naast coördinatie en bevordering van wetenschappelijk onderzoek ontplooit deze organisatie ook activiteiten in het kader van het Europese actieprogramma zeldzame ziektes, waarbij het in het bijzonder zal gaan om het opzetten van een informatiepunt zeldzame ziektes en het steunen van patiëntenorganisaties en groeperingen. De financiële consequenties betreffen ten eerste het opzetten van een secretariaat voor de praktische taken toe te voegen aan een bestaande instelling – in het onderhavige voorstel het gebied Medische Wetenschappen van de Nederlandse Organisatie voor Wetenschappelijk Onderzoek, (MW-NWO) – en ten tweede een stimuleringsprogramma via bestaande structuren met als doel onderzoek naar zeldzame aandoeningen en therapeutisch gericht onderzoek.

De tweede aanbeveling luidt dat Nederland zich binnen Europees verband moet inspannen voor het instellen van een commissie weesgeneesmiddelen die een prioriteitenlijst opstelt van een beperkt aantal ziektes. Via deze lijst zouden de grote Europese farmaceutische bedrijven een deel van hun research en ontwikkeling kunnen richten op die zeldzame ziektes waar tot dan toe geen aandacht voor was.

De derde aanbeveling luidt dat specifieke maatregelen nodig zullen zijn om farmaceutische industrieën ertoe te bewegen weesgeneesmiddelen te

ontwikkelen. De voorgestelde maatregelen zijn deels nationaal georiënteerd – bijvoorbeeld het laten vervallen van de registratiekosten (in Nederland) van een geneesmiddel, belastingvoordelen voor bedrijven die weesgeneesmiddelen ontwikkelen – en deels Europees van karakter – bijvoorbeeld het vervallen van de Europese registratiekosten (bij Europese registratie) en marktexclusiviteit voor een weesgeneesmiddel gedurende een aantal jaren.

### **Beleidsvoornemens aangaande de aanbevelingen in het RGO advies**

#### *Het opzetten van een nationale organisatiestructuur*

Deze aanbeveling spreekt mij bijzonder aan en ik zal mijn plannen hierover ontvouwen. Het RGO advies doet vooral aanbevelingen op nationaal niveau, maar haakt daarbij wel aan bij de eerder genoemde Europese ontwikkelingen. Een nationale organisatiestructuur (hierna te noemen: nieuwe structuur) zou drie belangrijke oriëntatiepunten bevatten, namelijk de producten (de feitelijke ontwikkeling en testen van weesgeneesmiddelen), de mensen (patiënten met zeldzame ziektes, patiëntenorganisaties, onderzoekers, behandelaars en farmaceutische bedrijven) en Europa (de verordening, het communautaire actieprogramma, regelgeving met betrekking tot industriebeleid en het comité bij de EMEA). Concreet stel ik mij voor dat tot de eerste taken van de nieuwe structuur behoren het verzamelen van informatie over zeldzame ziektes en weesgeneesmiddelen: inventarisatie van ziektes en aantallen patiënten in Nederland voortbouwend op de aanzet hiertoe in het RGO advies, inventarisatie research en het fungeren als een nationaal en internationaal aanspreek- en uitwisselingspunt in deze. Aansluitend hieraan volgen coördinatie en stimulering van basaal en patiëntgebonden onderzoek. Hierbij heb ik wetenschappelijke instellingen, kleine, biotechnologisch georiënteerde bedrijven, maar ook grotere farmaceutische bedrijven en patiëntenorganisaties op het oog. De nieuwe structuur zal ook een aanspreekpunt moeten zijn voor vragen die betrekking hebben op de Europese regelgeving in deze en adviezen kunnen geven verband houdend met de registratieaanvragen bij de EMEA. Ik hoop dat door middel van een dergelijke coördinerende en stimulerende instantie overzicht ontstaat over de ontwikkelingen en dat versnippering van menskracht, materialen en geld voorkomen kunnen worden. Bovendien verbind ik via deze weg het Europese actieprogramma zeldzame ziektes met de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen. Genoemd actieprogramma heeft als doel het versterken en zonodig creëren van een netwerken van patiëntorganisaties, maar indirect is dit naar mijn mening ook van belang voor de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen. In overweging 19 van het actieprogramma staat daarom «dat een actieprogramma inzake zeldzame ziekten deel moet uitmaken van een coherent, algemeen beleid dat ook initiatieven inzake weesgeneesmiddelen die commercieel wellicht onvoldoende rendabel zijn, en medisch onderzoek omvat;» Nederland heeft dit ook in de onderhandelingen over het actieprogramma naar voren gebracht. In de fase van patiëntgebonden onderzoek immers is er een speciale rol weggelegd voor de patiëntenorganisaties, een farmaceutisch bedrijf kan het dan niet zonder een aantal patiënten met de betreffende ziekte stellen. Bij het klinisch onderzoek van een nieuw middel voor een frequenter voorkomende ziekte kan een bedrijf in veel ziekenhuizen of huisartsenpraktijken terecht. In het geval van een zeldzame ziekte ligt dit anders, de aantallen patiënten zijn klein, vaak is niet precies bekend om hoeveel patiënten het nu eigenlijk gaat, waar ze wonen of hoe ze te bereiken zijn en het is duidelijk dat patiëntenorganisaties hierbij een belangrijke rol kunnen spelen. Het streven is om op korte termijn een nieuwe structuur op te zetten, onafhankelijk, maar ondergebracht bij een bestaande organisatie. De

Nederlandse Organisatie voor Wetenschappelijk Onderzoek (NWO) en het Agentschap College ter beoordeling van Geneesmiddelen (ACBG) heb ik bereid gevonden gezamenlijk en binnen een jaar na verlening van de opdracht deze structuur op te zetten met het zwaartepunt bij MW-NWO en die daar ook zal worden gehuisvest. Een extra argument hierbij is dat MW-NWO op korte termijn nauw gaat samenwerken met Zorgonderzoek Nederland (ZON). ZON wil de komende jaren in zijn programma chronisch zieken aandacht besteden aan patiënten met een zeldzame aandoening waarbij men verwijst naar het eerder genoemde communautaire actieprogramma en het RGO advies. De sterke punten van MW-NWO en ACBG worden hierdoor gebundeld teneinde optimale aandacht te geven aan de eerder genoemde oriëntatiepunten. Met deze organisaties zal ik op korte termijn in overleg treden over de financiële aspecten van het opzetten van deze nieuwe structuur en over effectieve besteding van reeds aanwezige financiële overheidsondersteuning met betrekking tot versterking van wetenschappelijk onderzoek, informatievoorziening en voorlichting inzake weesgeneesmiddelen en zeldzame ziektes. Tevens zal ik hen extra financiële ondersteuning verlenen op genoemde gebieden teneinde de nieuwe structuur ook een direct stimulerende rol te laten vervullen in de ontwikkeling van (het onderzoek naar) weesgeneesmiddelen. Aangezien een dergelijke nationale structuur implicaties heeft voor de ministeries van Economische Zaken en van Onderwijs, Cultuur en Wetenschappen zullen waarnemers van genoemde ministeries in de stuurgroep zitting nemen. Aan de hand van een evaluatie na vier jaar zal een beslissing genomen worden over voortgang van deze opzet. Inmiddels is overleg gestart met de overkoepelende patiëntenorganisaties over hun plaats in en bijdrage aan de nieuwe structuur. De organisaties staan positief tegenover mijn initiatief maar willen de inventarisatie van de zeldzame ziektes in Nederland met financiële ondersteuning mijnerzijds in eerste instantie zelf te hand nemen. Zij zullen hiertoe op korte termijn een plan bij mij indienen. Tenslotte wil ik opmerken dat het communautaire actieprogramma zeldzame ziekten (met een relatief beperkt budget van 6,5 miljoen euro) eind 2003 afloopt. Daarna zal er een nieuw overkoepelend actieprogramma inzake volksgezondheid zijn. Een voorstel voor dit nieuwe programma moet de Europese Commissie nog voorleggen aan de Raad (Volksgezondheid) van de EU en het Europees Parlement. Ik zal bepleiten dat in het nieuwe actieprogramma ook aandacht wordt geschonken aan zeldzame ziekten, zodat de onafhankelijke nationale organisatiestructuur gebruik kan maken van de EU-activiteiten over zeldzame ziekten en toegang krijgt tot een Europees netwerk voor informatie over zeldzame ziekten.

### **Het in Europees verband prioriteren van een aantal ziektes**

Wereldwijd zijn er naar schatting 5000 tot 6000 weinig voorkomende ziektes, die uiteraard niet alle in Europa of in Nederland voorkomen. Mede hierdoor en door het geringe aantal patiënten per ziekte krijgen deze vanuit wetenschappelijk oogpunt lang niet altijd de aandacht die zij verdienen, sommige ziektes krijgen zelfs in het geheel geen aandacht. Er zou daarom iets voor te zeggen zijn extra aandacht hiervoor te vragen bij het (nog te vormen) comité bij de EMEA in Londen. Ik stel mij voor dat een nationale structuur weesgeneesmiddelen, in samenwerking met dit comité en met vergelijkbare nationale Europese instanties, deze aanbeveling nader uitwerkt en beziet waar de werkelijke behoeften aan onderzoek en ontwikkeling van weesgeneesmiddelen liggen, daarbij tevens gebruikmakend van de activiteiten in het kader van het programma inzake zeldzame ziekten. Daarnaast is de kans op een succesvolle ontwikkeling van een weesgeneesmiddel groter indien bij wetenschappelijke instituten en farmaceutische bedrijven ontwikkelingen reeds in gang zijn gezet. Het rechtstreeks volgen van de tweede aanbeveling zou betekenen dat er door de Europese overheden keuzes gemaakt worden binnen de grote groep

zeldzame ziektes en ik ben van mening dat deze prioritering niet wenselijk is aangezien daarbij, in elk geval voorlopig, ziektes formeel van research uitgesloten worden.

### **Nationale stimuleringsmaatregelen**

De derde aanbeveling heeft betrekking op stimuleringsmaatregelen in nationaal verband, zoals fiscale maatregelen en subsidies. Met betrekking tot fiscale stimulering wijs ik op de bestaande algemene wettelijke regelgeving voor hoogwaardige technologische bedrijven. Zo is in dit verband de afdrachtvermindering speur- en ontwikkelingswerk (S&O) van belang. Deze regeling biedt de inhoudingsplichtige van loonbelasting die speur- en ontwikkelingswerk verricht een fiscale tegemoetkoming in de loonkosten die verband houden met het verrichten van S&O.<sup>1</sup> Niet-ondernemers kunnen ook voor deze vermindering in aanmerking komen voor zover zij werknemers speur- en ontwikkelingsactiviteiten laten verrichten ten behoeve van een onderneming. Voor ondernemers/natuurlijke personen die zelf speur- en ontwikkelingswerk verrichten, bestaat de mogelijkheid van een verhoogde zelfstandigenaftrek. In de eerste jaren na oprichting, zo heeft de ervaring geleerd, zal een aantal op de ontwikkeling van biotechnologische geneesmiddelen georiënteerde bedrijven geen winst maken of mogelijk zelfs verlies lijden. Daarbij is het mogelijk om een verlies te verrekenen met de eventuele winst van de drie voorafgaande jaren (achterwaartse compensatie) terwijl vervolgens een onbepaalde voorwaartse verliesrekening van toepassing is. In dit verband kan nog worden opgemerkt dat ontwikkelingskosten vaak niet behoeven te worden geactiveerd maar direct ten laste van de winst kunnen worden gebracht. Daarnaast zal in de loop van 2000 gedeeltelijke willekeurige afschrijving op nieuw te bouwen laboratoria die hoofdzakelijk voor speur- en ontwikkelingswerk worden gebruikt, mogelijk worden.

Na overleg met het ministerie van Financiën kom ik tot de conclusie dat thans niet moet worden ingezet op aanvullende fiscale maatregelen.

Ten aanzien van de registratie van deze middelen merk ik op dat weesgeneesmiddelen wat betreft hun kwaliteit niet anders beoordeeld moeten worden dan de gewone geneesmiddelen, met andere woorden er moet een positieve balans zijn tussen werkzaamheid en veiligheid. De Europese regelgeving inzake de registratie van geneesmiddelen biedt overigens de mogelijkheid een vergunning af te geven onder bijzondere omstandigheden en het bedrijf te verplichten aanvullende gegevens te overleggen over de werkzaamheid op lange termijn, de veiligheid en een betere onderbouwing van de dosering.

De aanspraak op vergoeding van extramuraal voorgeschreven geneesmiddelen is nader geregeld in de Regeling farmaceutische hulp 1996. Nieuwe geneesmiddelen die niet onderling vervangbaar zijn met geneesmiddelen op bijlage 1 van genoemde regeling komen in aanmerking voor plaatsing op bijlage 1b. Bij de beslissing over plaatsing op bijlage 1b houd ik rekening met de therapeutische waarde van een geneesmiddel, de doelmatigheid en het belang voor de volksgezondheid. In de toekomst zal de doelmatigheid beoordeeld worden aan de hand van farmaco-economische richtlijnen. Aangezien bij veel ernstige zeldzame ziektes geen therapie voorhanden is, verwacht ik dat een nieuw effectief geneesmiddel dat van de Europese Commissie het predikaat weesgeneesmiddel heeft verkregen ook therapeutische meerwaarde zal hebben. Ten einde rekening te houden met de weesgeneesmiddelenproblematiek zal ik met het College voor Zorgverzekeringen (CVZ) in overleg treden hoe om te gaan met de richtlijnen voor farmaco-economisch onderzoek bij de beoordeling van deze middelen voor toelating tot het sociale verzekeringspakket. Aangezien ik onnodige vertraging wil voorkomen lijkt het mij

---

<sup>1</sup> Deze vermindering bedraagt 40% over het loon tot f 150 000 en 13% over het meerdere tot maximaal 15 miljoen per inhoudingsplichtige per jaar. Voorwaarde voor toepassing van de vermindering is het toepassen van S&O. Bedrijven dienen om voor vermindering van afdracht in aanmerking te komen een verklaring aan te vragen bij het ministerie van Economische Zaken.

wenselijk dat het CVZ zijn werkzaamheden aangaande een potentieel weesgeneesmiddel vroegtijdig afstemt met MW-NWO/ACBG. Ter voorkoming van verwarring zal de Commissie farmaceutische hulp van het CVZ de huidige term orphan drugs in het Farmacotherapeutisch Kompas vervangen.

Ten aanzien van subsidie- en stimuleringsprogramma's wijs ik erop dat ik eerder 2 miljoen ter beschikking heb gesteld voor het door het ministerie van Economische Zaken geïnitieerde Stimuleringsprogramma voor Innovatief Geneesmiddelenonderzoek en Ondernemerschap in Nederland (STIGON). Naast bijdragen van de ministeries van EZ, OC en W zijn er nog bijdragen van de Nederlandse Organisatie voor Wetenschappelijk Onderzoek (NWO) en van verschillende wetenschappelijke instellingen. In totaal gaat het hierbij om 20 miljoen in vier jaar. Hoewel dit programma georiënteerd is op het bevorderen van het ontstaan van technisch hoogwaardige ondernemingen, zal bijzondere aandacht gegeven worden aan de ontwikkeling van geneesmiddelen voor chronische en zeldzame ziektes. Het STIGON-programma is een voortzetting van al eerder gestarte stimulering van innovatief geneesmiddelenonderzoek en in het afgelopen najaar van start gegaan met een looptijd van vier jaar. Afhankelijk van de voortgang en de resultaten zal ik mij beraden over het continueren van een stimuleringsprogramma gericht op weesgeneesmiddelen. Het jaarprogramma 2000 van de organisatie voor Toegepast Natuurwetenschappelijk Onderzoek (TNO Preventie en Gezondheid)) ondersteun ik financieel. In dit programma is het subthema weesgeneesmiddelen opgenomen, georiënteerd op geneesmiddelen die (potentiële) klinische waarde hebben maar die vanwege onvoldoende mogelijkheden tot patentering commercieel niet belangrijk genoeg zijn voor farmaceutische bedrijven. Het niet-octrooieerbaar zijn van een bepaald geneesmiddel is echter geen belemmering om, volgens de regelgeving in de EU of in de VS, de weesgeneesmiddelstatus toegewezen te krijgen.

### **Slot**

Samenvattend geef ik u naar aanleiding van de aanbevelingen in het advies van de Raad voor Gezondheidsonderzoek over de weesgeneesmiddelen een overzicht over de beleidsmaatregelen die ik wil nemen.

1. Ik zal het gebied Medische Wetenschappen van de Nederlandse Organisatie voor Wetenschappelijk Onderzoek en het Agentschap College ter Beoordeling van Geneesmiddelen verzoeken gezamenlijk een nationale organisatiestructuur weesgeneesmiddelen en zeldzame ziektes op te zetten.
2. Ik zal een stuurgroep installeren waar ik een aantal belanghebbende organisaties voor zal uitnodigen om zitting in te nemen.
3. Ik zal de financiering op mij nemen van deze structuur voor de duur van vier jaar en na evaluatie zal een oordeel gegeven worden over continueren ervan.
4. Met betrekking tot effectieve besteding van reeds aanwezige structurele overheidssubsidies zal ik overleg voeren met betrokken organisaties. Tevens zal ik met hen overleggen over financiële ondersteuning van wetenschappelijk onderzoek en van projecten op het gebied van verbetering van informatievoorziening. Nederland zal continuering van EU-actie inzake zeldzame ziekten (met name informatieverzameling en netwerken vormen) bepleiten.
5. De tweede aanbeveling van de RGO neem ik niet rechtstreeks over, maar ik zal de nieuwe organisatiestructuur verzoeken om, in samenwerking met Europese zusterorganisaties en met het nog op te richten comité bij de EMEA, de stand van zaken in Nederland en in Europa ten aanzien van epidemiologie en wetenschappelijk onderzoek naar zeld-

zame ziektes nader te inventariseren, daarbij ook gebruik makend van de activiteiten in het kader van het communautaire actieprogramma zeldzame ziekten.

6. Vanwege de speciale problematiek van zeldzame ziektes en wees-geneesmiddelen zal ik met het College voor Zorgverzekeringen in overleg treden over de wijze waarop farmaco-economische richtlijnen van toepassing kunnen zijn bij de toelating van deze middelen tot het sociale verzekeringspakket. Vroegtijdige afstemming van CVZ met de nieuwe organisatiestructuur bij MW-NWO/ACBG is hierbij van belang. Voor het overige blijven de eisen met betrekking tot kwaliteit en veiligheid onverminderd van kracht.
7. Met de Organisatie voor Toegepast Natuurwetenschappelijk Onderzoek zal ik overleg gaan voeren of het subthema weesgeneesmiddelen als programmaonderdeel in het Thema Diagnostiek en Medicatie verder uitgebreid kan worden.
8. Er wordt thans niet ingezet op aanvullende fiscale stimuleringsmaatregelen, naast de al bestaande maatregelen.

De Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport,  
E. Borst-Eilers