



Naar een gezamenlijke nationale strategie

Marianne de Visser
Amsterdam Universitair Medisch Centrum
Afd. Neurologie
Amsterdam

Agenda Workshop

‘Naar een gezamenlijke nationale strategie’

Manon van Splunter (Belangenbehartiger Nederlandse Federatie

Kankerpatiënten)

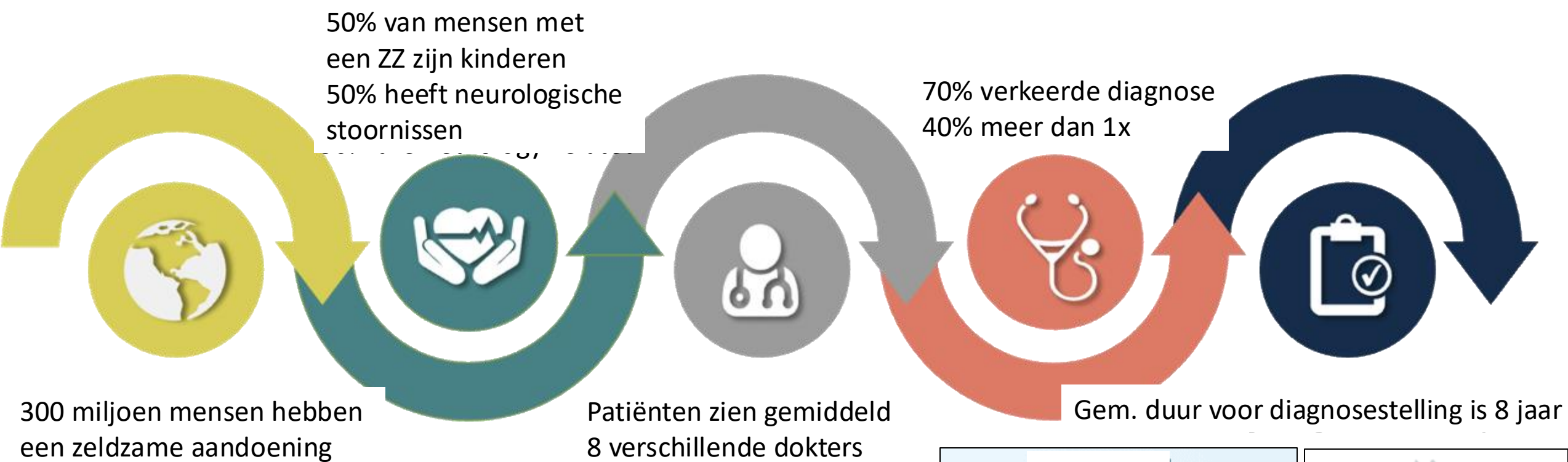
Marianne de Visser (Neuroloog, Amsterdam UMC en voorzitter FBG)

- Introductie
- Bespreking stellingen door deelnemers in kleine groepjes
- Daarna plenair bespreken van stellingen met als doel:
 - > formuleren van één gezamenlijke aanbeveling die centraal wordt teruggekoppeld

Zeldzame aandoeningen
<1:2000
Extreem zeldzaam
<1:50.000



Uitdagingen



Drie voorbeelden

- Spinale spieratrofie
 - Erfelijk, ernstige ziektelast, hoge mortaliteit
 - Therapie beschikbaar via ECZA (door internationaal onderzoek)
 - Opname in hielprik
- Ziekte van Pompe
 - Erfelijk, ernstige ziektelast, hoge mortaliteit
 - Therapie beschikbaar via ECZA (vanuit NL gestart onderzoek, op zoek naar gentherapie)
 - (nog geen opname in hielprik)
- GNAO1
 - Erfelijk, ultrazeldzaam, ernstige ziektelast, hoge mortaliteit
 - Alleen symptomatische therapie
 - Onderzoek gesubsidieerd door lokale fondsen
 - (Nog geen) ECZA

Knelpunten en aanbevelingen NPZZ



Wat zijn de knelpunten uit het NPZZ?

- Bij zorgverleners, onderzoekers, verzekeraars en overheid is nog veel onbekend over zeldzame ziekten.
- Er is onvoldoende zorg op maat en behoefte aan meer kennis bij zorgprofessionals over de zorg en behandeling van mensen met een zeldzame ziekte.
- Er is te weinig medisch wetenschappelijk onderzoek naar oorzaak, symptomen, kwaliteit van leven, beloop en behandeling (innovatieve medicatie) van zeldzame ziekten.
- ✓ Patiëntenorganisaties voor zeldzame ziekten werken nog te weinig samen om op efficiënte wijze de problematiek voor het voetlicht te kunnen brengen.
- Er is behoefte aan coördinatie en afstemming van in het NPZZ beschreven activiteiten, in het bijzonder ten aanzien van gezamenlijke aspecten van zeldzame ziekten om de positie van patiënten blijvend te verbeteren.

Aanbevelingen uit het NPZZ zijn:

- Door blijvend aandacht te besteden aan zeldzame ziekten in de opleiding van zorgprofessionals. Zo wordt het mogelijk om vroeger te signaleren, sneller de juiste diagnose te stellen en daardoor tijdig te verwijzen naar experts.
- Breng informatie en kennis over zeldzame ziekten samen en maak dit breed toegankelijk voor de diverse doelgroepen.
- Maak transparant waar expertise aanwezig is en wijs expertise aan op basis van vastgestelde criteria.
- ✓ Stel financiële middelen beschikbaar voor onderzoek naar zeldzame ziekten: er is behoefte aan kennis over die ziekten waarvoor alleen symptomatische behandelingen zijn, kennis over de kwaliteit van leven, onderzoek naar nieuwe methoden voor het opsporen en diagnosticeren van zeldzame ziekten en voor het meten van uitkomsten en kosteneffectiviteit van behandeling.

Beleidsvoorstellen basis voor nieuw Belgische Plan Zeldzame Ziekten

26 maart 2024 by [Eva Schoeters](#)



Waarom een speciaal beleid zeldzame ziekten?

VOOR
MEER
DAN **6.100** ZELDZAME
ZIEKEN

is expertise **schaars**

 **en toegang
tot optimale,
betaalbare zorg
moeilijk**

 **RaDiOrg**
www.radiorg.be

#RareDiseaseDay
#SamenZeldzaam



Zeldzame ziekten treffen naar schatting zo'n 700.000 mensen; ze zijn ongeneeslijk, doorgaans evolutief en vaak levensverkortend. **Ondanks hun belangrijke impact zowel op individuen als maatschappelijk, is ons zorgsysteem niet in staat mensen met ziekten met een lage prevalentie tijdig te diagnosticeren en vlot toe te leiden naar de best mogelijke, vaak schaarse expertise.**

Wat gebeurt er in Nederland?

AANDACHT POLITIEK VOOR BEPERKTE TOEGANG NIEUWE MEDICIJNEN: MOTIES AANGENOMEN 02 juli 2024

In de moties - die zijn aangenomen naar aanleiding van het debat Hulp- en geneesmiddelenbeleid van 30 mei - wordt o.a. gevraagd om:

- geneesmiddelenontwikkeling beter te laten aansluiten bij de behoefte van patiënten;
- een nationaal plan zeldzame aandoeningen op te stellen met aandacht voor o.a. toegang tot effectieve behandelingen;
- te stimuleren dat o.a. fabrikanten en het Zorginstituut eerder met elkaar in gesprek gaan om bepaalde procedures te versnellen.

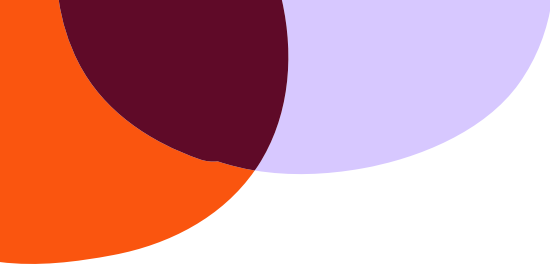
Zeldzaam goed geholpen

De noodzaak van een nationale strategie en een Europees actieplan voor zeldzame aandoeningen

De VSOP riep alle Kamerfracties op een motie van D66 en GroenLinks-PVDA voor een Nationaal Plan Zeldzame Aandoeningen te ondersteunen.

De motie is op 18 juni aangenomen!

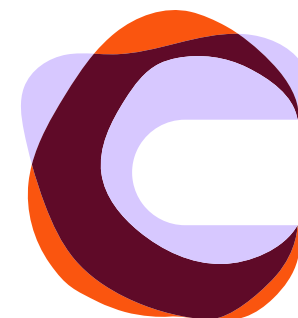




NEDERLANDSE KANKER AGENDA

WORKSHOP INLEIDING -
NAAR EEN GEZAMENLIJKE
NATIONALE STRATEGIE

VRIJDAG 4 APRIL

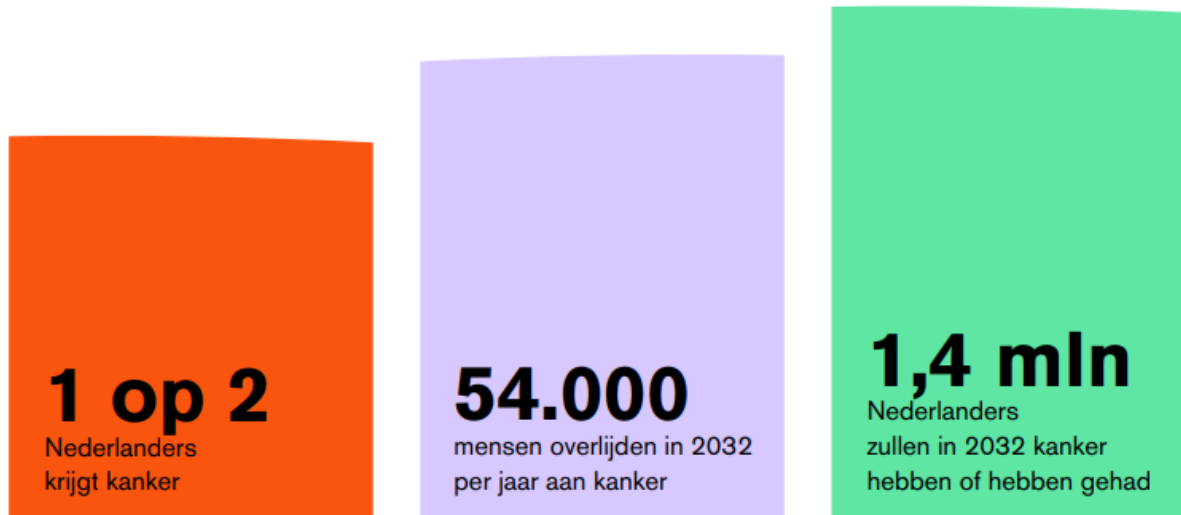


**Nederlands
Kanker
Collectief**

Waarom de Nederlandse Kanker Agenda?

De impact van kanker is enorm

Bijna iedereen komt in aanraking met kanker



De impact is blijvend

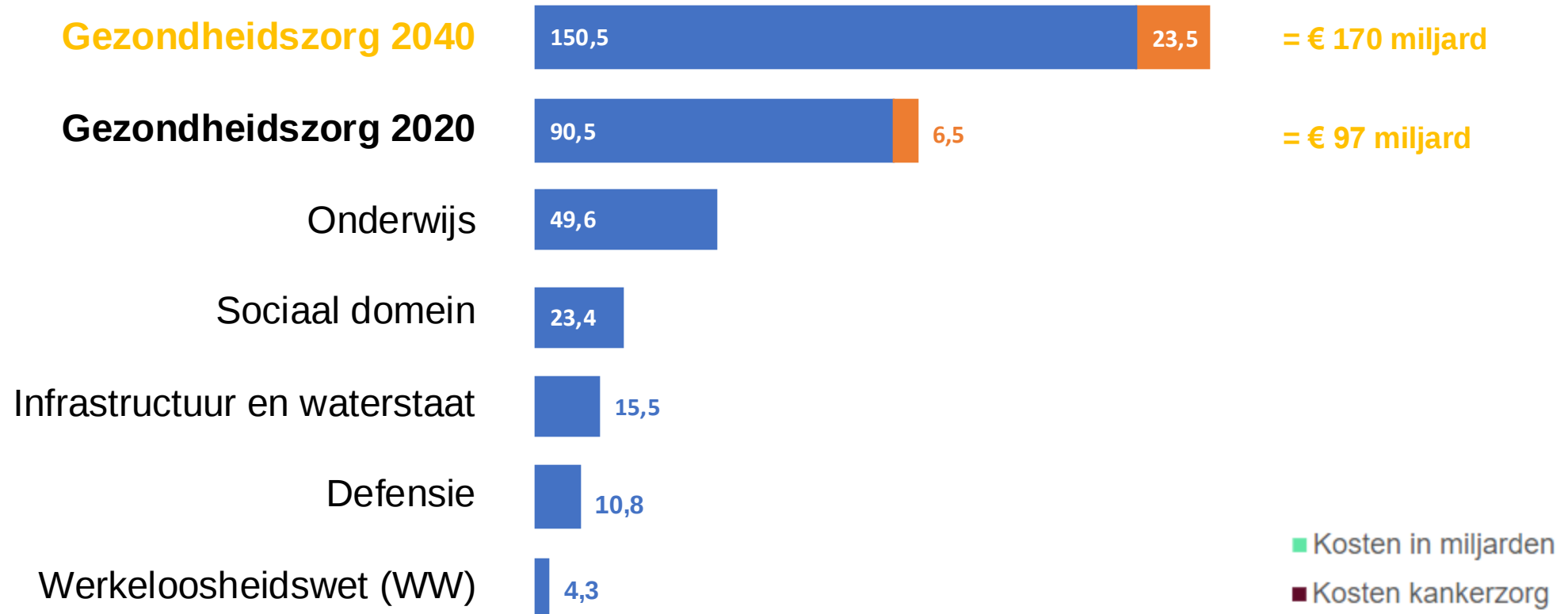


Klachten >2 jaar na diagnose

Waarom de Nederlandse Kanker Agenda?

Uitgaven gezondheidszorg blijven groeien

Uitgaven publieke voorzieningen 2020 en 2040



Waarom de Nederlandse Kanker Agenda?

Europese oproepen tot nationale kankerplannen



Europe's Beating Cancer Plan



EU Mission on Cancer

En hoe vertalen
jullie dit door
voor Nederland?

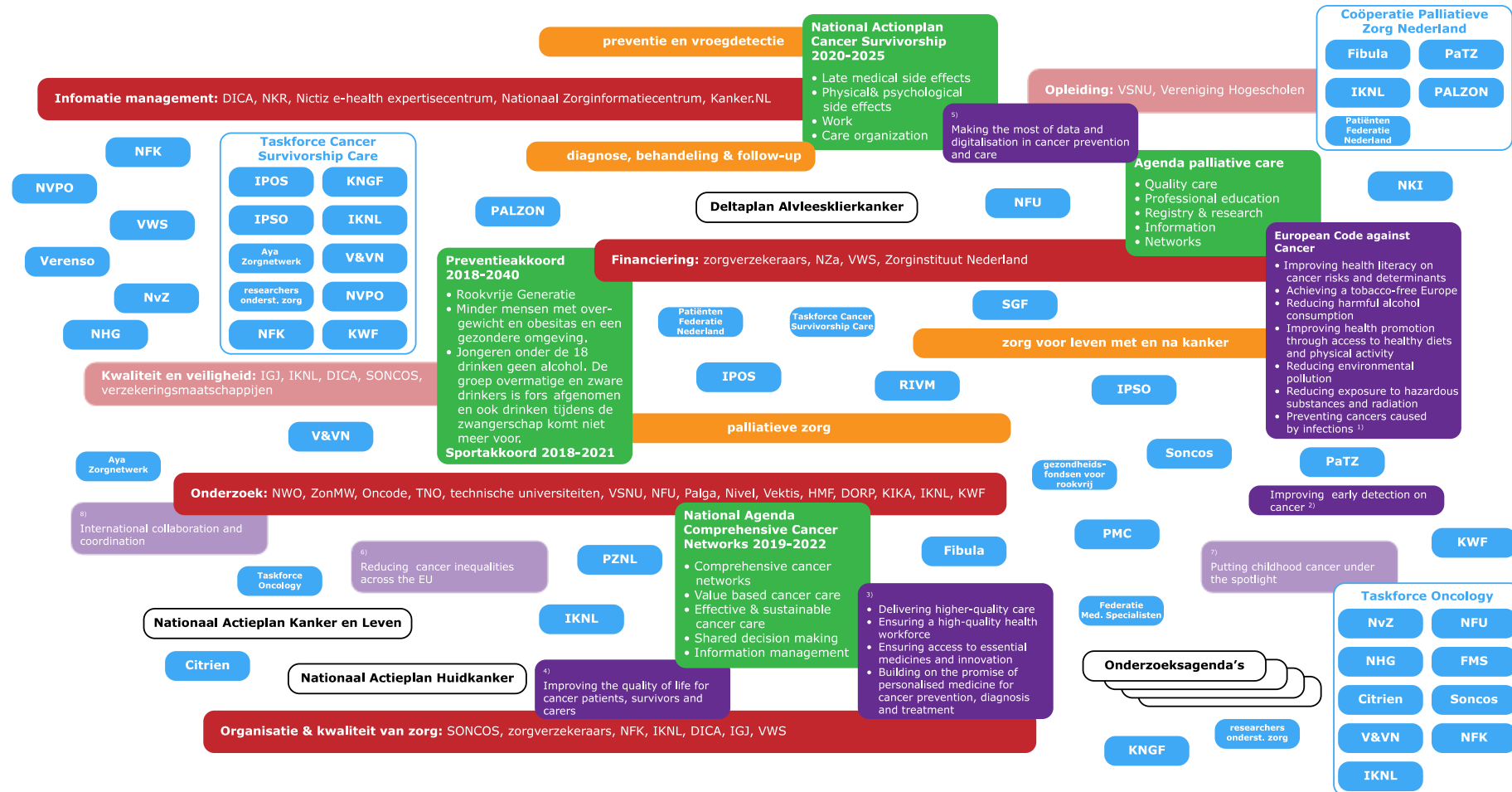
Wat zagen we in Nederland?

Heel kundig veld...



Dit overzicht is niet limitatief

... tegelijk een heel versnipperd veld



Dit overzicht is niet limitatief

Tijd voor een nieuwe aanpak

Wat als we het samen oppakken?

- Drie initiatiefnemers
- Breed perspectief
- Bottom-up, a-politiek, onafhankelijk
- Breed gesteund
- 140+ organisaties



Nederlands
Kanker
Collectief

Eén plan voor Nederland



24
nov 2023

Nederland krijgt eindelijk een landelijke strategie tegen kanker

Nederland is één van de weinige landen in de EU zonder nationale overkoepelende strategie tegen kanker. Gelukkig komt daar nu verandering in, want de Nederlandse Kanker Agenda (NKA) is gelanceerd.

De agenda met 20 doelen



Preventie

Patiëntreis

Kwaliteit van
leven

Doelen en middelen

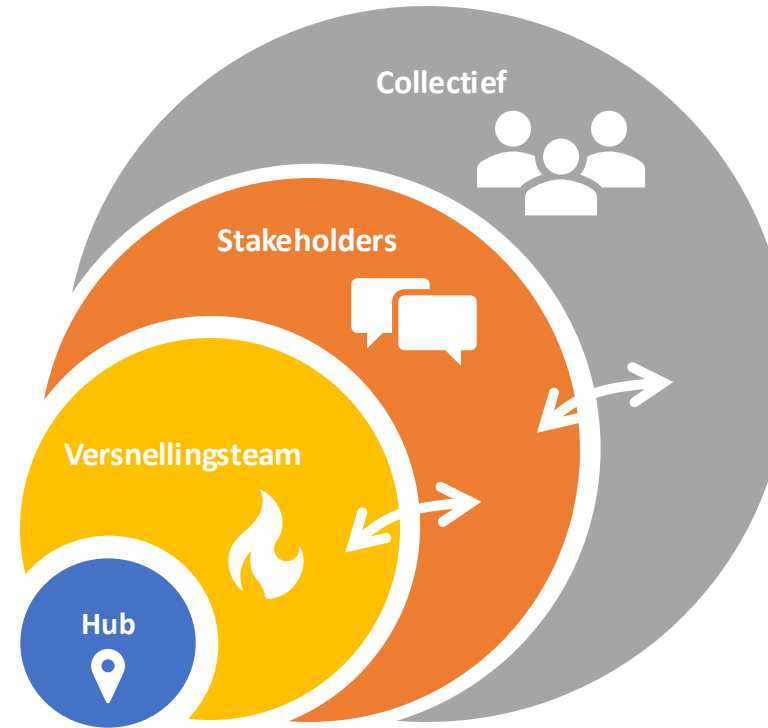


Hoe we samenwerken

Onze principes



Hoe we samen versnellen



Wie
Focus

Versnellingsteam

Experts, koplopers

Inhoud - samen probleem uitpluizen, tot concrete acties komen en deze realiseren

Rol
Inbreng

Actiehouder die oplossingen ontwikkelt en uitvoert.
Expertise, tijd en middelen om het doel te realiseren



Wie
Focus

Hoe de hub aanvult

Ondersteunend projectmanager

Procesfocus: brengt structuur, bewaakt het einddoel en het proces: tempo, samenwerking, effectiviteit

Rol
Inbreng

Facilitator, procesbegeleider en aanjager
Werkwijze, onafhankelijkheid, tussenruimte

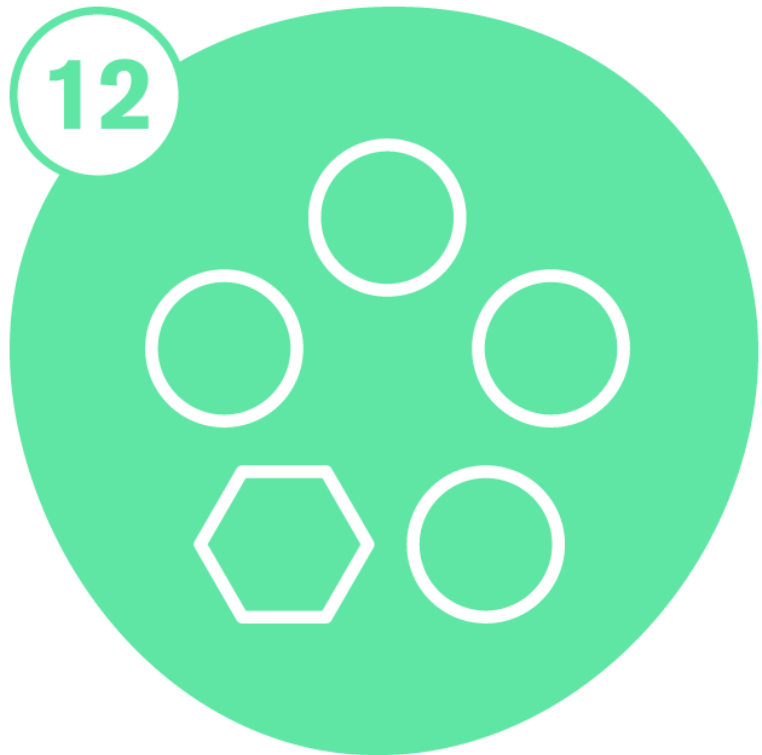
Hoe we aan actieplannen werken



We geloven in:

- Starten met het probleem: uitdiepen en scherp formuleren
- Samenwerken en daardoor versnellen
- Focus op acties en oplossingen, niet op organisaties

12



Zeldzame kankers

In 2032 is de overleving van mensen met of na een zeldzame vorm van kanker verbeterd

Meer weten?

[Lees hier de pagina's uit de NKA over zeldzame kankers](#)

Van een eerste situatieschets van het probleem...

- 1 op de 5 nieuwe kankerdiagnoses betreft een zeldzame vorm van kanker. Zeldzame kanker als groep is daarmee niet zeldzaam
- In de periode van 1995-1999 tot 2015-2019 is de 5-jaarsoverleving van zeldzame solide kankers gestegen van 46% naar 53%. In dezelfde periode is de 5-jaarsoverleving van niet-zeldzame solide kanker gestegen van 57% naar 70%
- Ieder jaar worden ruim 25.000 Nederlanders gediagnosticeerd met een zeldzame vorm van kanker
- Mensen met een zeldzame vorm van kanker ervaren vaker een lagere kwaliteit van leven dan mensen met een niet-zeldzame vorm kanker
- Een huisarts ziet gemiddeld nog geen drie nieuwe mensen met een zeldzame vorm van kanker per jaar

...naar een probleemboom

Doel Zeldzame kankers In 2032 is de overleving van mensen met of na een zeldzame vorm van kanker verbeterd

Probleem

De 5-jaarsoverleving voor zeldzame solide kanker blijft achter op de stijging van de 5-jaarsoverleving van niet-zeldzame solide kanker. Daarnaast ervaren mensen met een zeldzame vorm van kanker een lagere kwaliteit van leven dan mensen met een niet-zeldzame vorm kanker

Meer weten?

[Lees hier het actieplan zeldzame kankers](#)

prioriteit

Oorzaak

1. Het diagnostisch traject van mensen met een zeldzame vorm van kanker duurt te lang. Hierdoor zijn de tumoren bij diagnose ongunstiger in hun stadiëring en is de start van behandeling vertraagd, en is de impact hiervan op de mens met een zeldzame vorm van kanker groot

2. Mensen met een zeldzame vorm van kanker hebben geen standaard klinische toegang tot uitgebreide moleculaire diagnostiek

3. Expertzorg voor mensen met een zeldzame vorm van kanker is onvoldoende geregeld

4. Voor zeldzame kankers zijn er onvoldoende wetenschappelijke doorbraken die leiden tot een verbetering van de diagnostiek, behandeling en daarmee overleving. Er zijn te weinig (evidence based) behandelingen voor zeldzame vormen van kanker

5. De ontwikkeling, doorstroom en beschikbaarheid van veelbelovende geneesmiddelen voor veel voorkomende kankersoorten naar zeldzame kankersoorten verloopt traag

6. Er is onvoldoende inzicht in de ondersteuning die mensen met een zeldzame vorm van kanker en hun naasten nodig hebben ten aanzien van onvervulde behoeften en kwaliteit van leven gedurende het gehele ziekte-traject

7. De problematiek rond de zorg voor mensen met een zeldzame vorm van kanker is te weinig bekend bij het grote publiek en nog onvoldoende ingebed in representatieve organisaties in de zorg

Sub-oorzaak

Vertragingen in doorlooptijd 1) tussen de eerste klachten en bezoek aan de huisarts en 2) tussen diagnostische testen (huisarts, tweedelijns en derdelijns/ECZA) door:

- A. Geen bewustzijn bij patiënt/arts over symptomen die mogelijk kunnen wijzen op zeldzame kanker
- B. Gebrek aan kennis over zeldzame vormen van kanker bij zorgprofessionals
- C. Onvoldoende inzicht waar voor de diverse zeldzame vormen van kanker een mogelijke vertraging in het proces optreedt

- A. De meerwaarde van uitgebreide genenpanels (als WGS) is onvoldoende aangetoond
- B. Dit aantonen is moeilijk door gezondheidsimpact, kosten-baten, toepasbaarheid van de techniek in diverse centra, terughoudendheid bij diverse stakeholders in het veld & extra vergoeding die nodig is

- A. Regie ontbreekt en bestaande initiatieven sluiten slecht op elkaar aan (multidisciplinaire werkgroepen, SONCOS, regionale netwerken, Europese referentie netwerken, ECZA)
- B. Optimale diagnostiek en behandeling vereisen specifieke organisatie van zorg en samenwerking maar er is onvoldoende inzicht in de effectiviteit, efficiëntie en de voorwaarden waaronder organisatievormen de gewenste uitwerking hebben
- C. Bestaande afspraken rond expert-, verwijlsbare- en netwerkzorg zijn té vrijblijvend
- D. Er is onvoldoende duidelijk wanneer verwijzing naar een expertisecentrum noodzakelijk is of wanneer bv regie op afstand voldoende is
- E. Het is onvoldoende duidelijk voor welke zeldzame kankervormen er landelijke panels wenselijk zijn

- A. Er is onvoldoende financiële incentive voor doelgerichte therapie ontwikkeling in zeldzame kankers t.o.v. niet-zeldzame kankers gezien de lage prevalentie
- B. Er wordt geen structurele prospectieve data verzameld van mensen met een zeldzame vorm van kanker
- C. Er wordt niet structureel uitgebreid biomarker onderzoek verricht bij patiënten met een zeldzame vorm van kanker. Biomarker onderzoek is duur en niet centraal georganiseerd
- D. Er worden te weinig klinische studies met nieuwe behandelmethoden bij mensen met een zeldzame vorm van kanker uitgevoerd. Wetenschappelijk onderzoek doen met kleine populaties is lastig waardoor trials niet goed van de grond komen, ook door desinteresse vanuit de bredere industrie
- E. De regie voor het verzamelen van data ontbreekt, omdat de groep zeldzame kankers uit zeer (vaak ook diverse) veel kleine subtypen van kanker bestaat

- A. Veel data worden in verschillende silo's verzameld zowel nationaal als internationaal, regie ontbreekt
- B. Vertraging door lastige interpretatie (AVG)-wetgeving waardoor ziekenhuizen lastig data delen
- C. Wetenschappelijk onderzoek doen met kleine populaties is lastig waardoor trials niet goed van de grond komen, ook door desinteresse vanuit de industrie
- D. Het gebrek aan prioritering/focus/tijd/geld in onderzoek/industrie
- E. Bij de EMA ontbreekt een renewal systeem conform FDA om medicatie voor andere indicatie (versneld) te registreren

- A. Onderzoek naar ondersteuning ten aanzien van onvervulde behoeften en kwaliteit van leven heeft tot op heden vooral plaatsgevonden bij mensen met een niet-zeldzame vorm van kanker en hun naasten
- B. Er is te weinig kennis over specifieke problemen waar mensen met een zeldzame vorm van kanker, en hun naasten, mee geconfronteerd worden als het gaat om onvervulde behoeften en kwaliteit van leven

- A. Er is te weinig besef in het publieke domein dat de groep van mensen met een zeldzame vorm van kanker een vijfde deel van alle mensen met kanker betreft en dat deze mensen sterk achterblijven in verbetering van overleving
- B. Er is weinig aandacht in het publieke domein voor zeldzame vormen van kanker

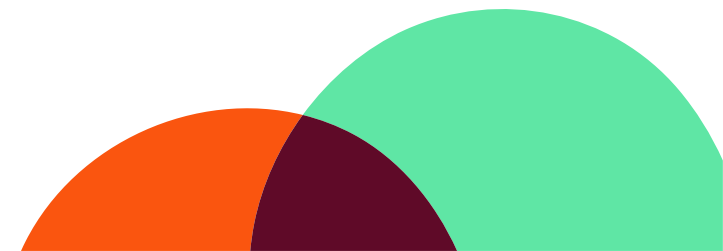
Feedback? Vragen?



Neem contact op:

warnyta@nederlandskankercollectief.nl

l of 06-38715100



Stellingen

1. Financiering van structurele en duurzame onderzoeksprogramma's voor zeldzame ziekten is momenteel urgenter dan die voor niet-zeldzame aandoeningen zoals beroertes of dementie
2. Ervaringsdeskundigen hebben geen toegevoegde waarde in programma-commissies voor fundamenteel, innovatief onderzoek
3. Door copy-adept-paste kan de collectief aanpak van de Nederlandse Kanker Agenda en in het bijzonder het actieplan zeldzame kankers vrijwel meteen ingezet worden als nieuwe nationale strategie voor zeldzame aandoeningen
4. Een bottom-up approach om tot een nationale strategie te komen biedt kansen tot versnelling, maar leidt tot uitdagingen in acceptatie/draagvlak op beleidsniveau
5. In een collectief aanpak start je met samenwerken tussen de belangrijkste/machtigste/grootste partijen, of start je juist daar waar de energie zit in het voorop stellen van de missie en het nemen van verantwoordelijkheid?