

Consultatieverslag Beleidsvisie ECZA 2024

1. Gegevens

Consultatienummer: 5205

Naam: Beleidsvisie ECZA 2024

Type consultatie: Ministeriële regeling Departement(en): Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport

Publicatiedatum: 18-09-2024 (11:00)

Einddatum: 18-10-2024 (23:59)

Aantal reacties: 38

2. Algemeen

2.1 Onderwerpen van de consultatie

Sinds 2021 vindt jaarlijks een erkenningsronde plaats voor (kandidaat) expertisecentra zeldzame aandoeningen (ECZA). Op basis van verkregen inzichten zijn enkele aanscherpingen in de Beleidsvisie 2022 gewenst. Deze wijzigingen komen voort uit ervaringen en wensen van de patiëntenkoepel VSOP, de NFU en VWS. Dit heeft geresulteerd in een voorstel voor het wijzigen van de Beleidsvisie op een aantal punten.

- De definities van 'referent' en 'patiëntenorganisaties' zijn toegevoegd aan de begrippenlijst, om de rollen en verantwoordelijkheden van de verschillende partijen in de beoordelingsprocedure inzichtelijker te maken.
- De definities van 'ECZA' en 'zeldzame aandoening' zijn verduidelijkt. Ook is aan de definitie 'zeldzame aandoening' de definitie van een 'ultrazeldzame aandoening' toegevoegd.
- De beoordelingsprocedure is verduidelijkt.
 - o Er is verduidelijkt dat het gaat om een jaarlijkse procedure, waarbij een Beoordelingscomité een advies uitbrengt en ook referenten en patiëntenorganisaties worden benaderd, waardoor na de aanvraag beperkt nieuwe stukken worden toegelaten.
 - o Ook is toegelicht dat er een gezamenlijke aanvraag kan worden gedaan door meerdere kandidaat ECZA.
 - o Daarnaast is de compleetheidscheck, waarbij de secretaris van het beoordelingscomité controleert of de aanvragen compleet zijn, opgenomen in het overzicht van stappen in de procedure.
 - o Ook de selectie en rol van referenten en patiëntenorganisaties zijn verduidelijkt.
- Nieuw in de beoordelingsprocedure is de 'zienswijzeprocedure', die is opgenomen. Kandidaat-ECZA en patiëntenorganisaties die het Beoordelingscomité hebben geadviseerd, zijn belanghebbenden en krijgen daarom de gelegenheid te reageren op het voorgenomen advies van het Beoordelingscomité. Het Beoordelingscomité weegt de (schriftelijke) reactie van de kandidaat-ECZA en de betrokken patiëntenorganisaties mee bij het vaststellen van het definitieve advies aan de minister van VWS. Dit draagt bij aan een toegankelijker en transparanter beoordelingsproces.
- In de bijlage zijn de eisen en indicatoren verduidelijkt. Daarbij is rekening gehouden met wijzigingen vanuit Europese wet- en regelgeving. In de Beleidsvisie 2022 waren 12 eisen opgenomen. In de voorliggende Beleidsvisie 2024 zijn 9 eisen geformuleerd, geclusterd op verschillende thema's. Hoewel het om minder eisen gaat, komen alle thema's uit de vorige Beleidsvisie hierin terug. Soms zijn eisen of indicatoren samengevoegd met als doel specifieke onderwerpen beter te clusteren. Dit heeft als doel om enerzijds de beoordeling door het Beoordelingscomité inzichtelijker te maken en anderzijds kandidaat ECZA duidelijkheid te bieden over de eisen en indicatoren.

2.2 Looptijd van de internetconsultatie

Partijen konden van 18 september 2024 tot en met 18 oktober 2024 reageren op de concept Beleidsvisie expertisecentra zeldzame aandoeningen 2025 (hierna: beleidsvisie 2025). De naamgeving van de beleidsvisie 2024 is aangepast naar de beleidsvisie 2025.

2.3 Voorgelegde vraag

Er is gevraagd om te reageren op de gehele concept beleidsvisie 2025.

2.4 Opbrengst

In totaal zijn er 38 reacties ingediend, waarvan 33 reacties openbaar zijn. Respondenten konden zelf de keuze maken of hun reactie openbaar was of niet. 23 partijen onderschrijven het document dat door koepelorganisaties is opgesteld. De reacties zijn afkomstig van verschillende groepen. Zo heeft een individuele burger gereageerd, maar ook een grote verscheidenheid aan patiëntenorganisaties, tweetal koepelorganisaties, zorgaanbieders en een individuele zorgprofessional. De meeste partijen die gereageerd hebben zijn een patiëntenorganisatie.

We willen iedereen die heeft gereageerd bedanken voor de inbreng en de bijdrage die men daarmee levert aan het verbeteren van de zorg voor patiënten met een zeldzame aandoening. De reacties leveren waardevolle informatie op.

3. Verslag op hoofdlijnen en reactie VWS met aanpassingen aan de beleidsvisie

Het merendeel van de reacties is positief over het feit dat de beleidsvisie wordt herzien en men denkt graag mee over verdere verbeteringen. Op basis van alle reacties is een verdeling gemaakt naar 5 thema's. Deze thema's omvatten de onderwerpen die als rode draad uit de inbreng naar voren kwamen. Per thema zijn de reacties gebundeld en samengevat. De volgende thema's komen achtereenvolgens aan de orde:

- Patiëntenvertegenwoordiging
- ORPHAcodes
- Juridische aspecten
- Procedure
- Indicatoren per eis voor toetsing ECZA

Daarnaast is aan de hand van de vijf thema's de reactie van VWS en de aanpassingen aan de concept beleidsvisie 2025 toegelicht naar aanleiding van de internetconsultatie. Daarnaast is nog een aantal tekstuele aanpassingen gedaan ter verduidelijking. Ten behoeve van de vindbaarheid van ECZA's gaat de NFU samen met NVZ, VSOP en andere stakeholders aan de slag om de vindbaarheid van expertisecentra verder te verbeteren.

3.1 Patiënten vertegenwoordiging

Een algemeen beeld van vrijwel alle patiëntenorganisaties is dat zij de positie van de patiënt niet verbeterd zien in de beleidsvisie 2025. Zij pleiten voor gelijkwaardige samenwerking als volwaardige partner, waarbij de stem en ervaring van de patiënt en familie zwaarder moet wegen en niet (zoals wordt gevoeld) worden afgezwakt. De vragenlijst die patiëntenorganisaties invullen voor de beoordelingsprocedure doet geen recht aan wat belangrijk is voor patiënten en zij missen informatie om de vragenlijst adequaat in te vullen. Relevante patiënten vertegenwoordiging zou moeten worden voorgedragen door de kandidaat ECZA. Wanneer er geen patiëntenorganisatie voor betreffende aandoening wordt gevonden, kan er geen ervaringsdeskundigheid worden ingebracht, ook niet door de VSOP.

Reactie VWS

In de beoordelingsprocedure is de 'zienswijzeprocedure' opgenomen. Kandidaat ECZA en patiëntenorganisaties die het beoordelingscomité hebben geadviseerd, zijn belanghebbenden en krijgen daarom de gelegenheid te reageren op het voorgenomen advies van het beoordelingscomité. Het beoordelingscomité weegt de (schriftelijke) reactie van de kandidaat ECZA en de betrokken patiëntenorganisaties mee bij het vaststellen van het definitieve advies aan de minister. Dit draagt bij aan een toegankelijker en transparanter beoordelingsproces. Daarnaast is aangepast dat ook de patiëntenorganisaties het definitieve advies van het beoordelingscomité ontvangen.

Een patiëntenorganisatie wordt gevraagd om vanuit ervaringsdeskundigheid een advies uit te brengen, hiervoor ontvangt zij de benodigde informatie. De medisch referent wordt gevraagd om vanuit medisch inhoudelijk deskundigheid een advies uit te brengen. Vanwege dit verschil van perspectief volgt ook logischerwijs dat zij niet dezelfde informatie nodig hebben om een beoordeling uit te voeren.

3.2 ORPHAcodes

In een paar reacties komt ter sprake dat het gebruik van ORPHAcodes niet zorgt voor eenduidige taal, er worden ORPHAcodes op verschillende niveaus aangevraagd voor dezelfde aandoeningen

door verschillende kandidaat ECZA. Betere instructies of afstemming tussen (kandidaat-) ECZA in hetzelfde cluster, op welk niveau de ORPHAcodes gebruikt dienen te worden, zou wenselijk zijn. Dit zou ook zorgen voor betere vindbaarheid van zeer zeldzame subtypes voor de patiënt. Daarnaast wordt geadviseerd om de Dutch Hospital Data te betrekken en te zorgen voor een eenduidige taal.

Ook wordt aangegeven dat Orphanet-NL een ondersteunende rol in het beoordelingscomité, geen besluitvormende. In de concept-beleidsvisie is aangegeven dat Orphanet-NL mag adviseren over de aanstelling van leden van het beoordelingscomité. Dat kan vervallen, gelet op de ondersteunende rol.

Reactie VWS

De aanbeveling van de Europese Commissie over het gebruik van ORPHAcodes worden gevolgd in de beleidsvisie. Echter zijn in de beleidsvisie geen aanvullende kaders gesteld over het gebruik van ORPHAcodes. VWS heeft deze signalen doorgeleid naar de NFU en deze signalen zijn bekend bij de NFU. Uitgangspunt vanuit de NFU is dat er zoveel mogelijk geregistreerd wordt op het niveau van 'aandoening' conform Orphanet. In de praktijk blijkt dat dit niet altijd mogelijk is. Daar zijn diverse redenen voor:

- Het is nog onduidelijk welke aandoening de patiënt exact heeft, maar wél dat de aandoening binnen een bepaalde groep van aandoeningen valt.
- Er is (nog) geen specifieke ORPHAcodes voor de betreffende aandoening.

De NFU werkt samen met Orphanet-NL en DHD aan een document met uitgangspunten over registratie van subtypen en groepen.

Daarnaast kunnen instellingen voorafgaand aan de vooraanmelding in overleg gaan met de NFU en Orphanet-NL. De NFU zal hier aandacht aan besteden, maar het is aan de zorgaanbieders om daar onderling afspraken over te maken. Het clusteren van de beoordelingen van de ERN's is op dit moment niet haalbaar om per ERN specifieke eisen en criteria op te stellen. Tot slot maakt het beoordelingscomité al gebruik van de Dutch Hospital Data.

Het klopt dat Orphanet-NL een ondersteunende rol heeft in het BC (geraadpleegd deskundige). Orphanet-NL neemt daarnaast zitting in de klankbordgroep, en mag – net als andere leden van de klankbordgroep – adviseren over het aanstellen van de voorzitter van het beoordelingscomité. Het is uiteindelijk aan de minister van VWS om de voorzitter aan te stellen. De voorzitter stelt vervolgens de andere leden aan.

3.3 Juridische aspecten

Respondenten zien te weinig verbetering van de rechtspositie van de patiëntenorganisaties voor zeldzame aandoeningen in deze beleidsvisie. Verzoek is, in het belang van de patiënten, dat ook een patiëntenorganisatie bezwaar kan maken tegen een besluit van de minister. Ook als een kandidaat ECZA (instelling) heeft besloten zich uit een bezwaarprocedure terug te trekken. Ook wordt aangegeven dat er nog niet gestart is met een verbeterde wettelijke grondslag voor de ECZA-besluiten en dat de huidige grondslag niet voldoet.

Reactie VWS

De wettelijk grondslag van artikel 8, eerste en derde lid, van de Wet op bijzondere medische verrichtingen, voor de beleidsvisie 2025 wijzigt niet. Het doel van de expertisecentra zeldzame aandoeningen is om kennis en kunde van verschillende specialismen te bundelen, wetenschappelijk onderzoek te doen en deze kennis te delen binnen Europa. Het is niet zo dat alleen ziekenhuizen met een erkenning zeldzame aandoeningen mogen behandelen. Het ligt daarom niet voor de hand om de ECZA's onder een verbod of vergunningensysteem (hoofdstuk II van de wet) te laten vallen. We willen wel een zekere stimulans geven aan kennisontwikkeling, hetgeen past onder het begunstigingssysteem. Aangemerkt worden als ECZA brengt bepaalde voordelen met zich mee. Bijvoorbeeld omdat een ECZA onderzoeksgelden kan krijgen vanuit Europa. Er kan dus wel sprake zijn van indirecte begunstiging. Daarnaast kan een ECZA declareren voor een expertise consult. Het feit dat de grondslag voor de beleidsvisie onder hoofdstuk III staat, terwijl er niet direct sprake is van financiële ondersteuning, betekent niet dat de grondslag onvoldoende is. Gelet op het vorenstaande is er geen aanleiding om de wettelijke grondslag te wijzigen.

Patiëntenorganisaties kunnen onafhankelijk van de kandidaat ECZA besluiten bezwaar aan te tekenen tegen het besluit. Wanneer de instelling zelf geen bezwaarschrift heeft ingediend of het bezwaarschrift intrekt, speelt de vraag in hoeverre een patiëntenorganisatie belang heeft bij een

beoordeling van zijn bezwaar. Dit is in lijn met de vaste jurisprudentie van de Afdeling Bestuursrechtspraak van de Raad van State. Indien een dergelijke situatie zich voordoet, zal tijdens de bezwaarprocedure het procesbelang worden beoordeeld.

3.4 Procedure

Er worden meerdere aanbevelingen gedaan om het proces te verbeteren en transparanter te maken. Zoals het opstellen van een reglement van orde, goed beschrijven van de governance-structuur, jaarlijkse openbare rapportage van de werkzaamheden van het beoordelingscomité, het inzichtelijk maken van de volledige aanvraag voor de beoordelende patiëntenorganisatie, transparantie van referenten en hun (voorgenomen)advies en het gelijktijdig beschikbaar zijn van voorgenomenadviezen voor de (kandidaat-) ECZA en patiëntenorganisatie. Voor kwaliteitsverbetering wordt geadviseerd dat er meer leden met inhoudelijke kennis in het beoordelingscomité komen of mogelijk in een subcommissie. Daarnaast worden er ook nog meer aanbevelingen gedaan over de werkwijze, samenstelling van het beoordelingscomité zoals een nadere uitwerking van hoe het Beoordelingscomité handelt indien er geen oordeel gevormd kan worden omdat bijvoorbeeld referenten ontbreken.

Een aantal respondenten geeft aan dat het adviseren door het beoordelingscomité zonder inbreng van medische referenten onwenselijk is. In de gevallen dat die situatie toch dreigt, moet duidelijk in het reglement bepalingen worden vermeld hoe te handelen. Dit kan besproken worden met het aanvragend centrum en de adviserende patiëntenorganisatie ook moet overwogen worden of er buitenlandse referenten worden ingeschakeld.

Ingangstoets

Het niet kunnen aanvragen van een ECZA voor expertise voor een zeldzame aandoening die slechts in een bepaalde leeftijdscategorie of levensfase (bijv. op kinderleeftijd of tijdens een zwangerschap) voorkomt, dient volgens een respondent heroverwogen te worden. De respondent geeft aan dat er reeds erkenningen zijn gedaan in deze groepen en specifieke expertise voor deze groepen is van groot belang voor de meest optimale uitkomsten van deze patiënten.

Zienswijzeprocedure

De patiëntenorganisaties zetten hun vraagtekens bij het proces van de zienswijzeprocedure als nieuwe informatie wordt aangeleverd waardoor het opnieuw raadplegen van referenten en patiëntenorganisaties nodig is. Een nieuwe aanvraag een jaar later indienen is inefficiënt en onwenselijk. Ook de rechtsbescherming van het aanvragende centrum lijkt onvoldoende omdat er geen mogelijkheid is voor een echte inhoudelijke overweging, maar ook geen bezwaarmogelijkheid gegeven wordt.

Herbeoordeling

Enkele respondenten verzoeken om een lichtere beoordeling bij ECZA's die na 5 jaar opnieuw een aanvraag indienen. Wanneer ze bij herbeoordeling een negatief oordeel krijgen, zou het centrum een tijdelijke verlenging onder bepaalde voorwaarden moeten krijgen en daarmee de tijd krijgen om e.e.a. te repareren.

Reactie VWS

Er wordt door meerdere partijen gevraagd om meer transparantie van het beoordelingscomité, zoals de ontwikkeling van een reglement van orde en een governance-structuur van de ECZA-procedure. Dit is geen onderdeel van de beleidsvisie, maar VWS staat wel achter de borging van een reglement van orde. VWS deelt dit signaal met de NFU, die op dit moment bezig is met het opstellen van een dergelijk stuk. De NFU heeft in samenspraak met betrokken stakeholders een nieuwe governance-structuur opgesteld en dit ter consultatie voorgelegd aan VWS. We kijken of we deze structuur bijvoorbeeld in de vorm van een infographic kunnen delen. Daarnaast wordt gevraagd om de individuele namen van het beoordelingscomité bekend te maken. Deze transparantie wordt door VWS ondersteund. De namen van de voorzitter en secretaris van het beoordelingscomité zijn gepubliceerd op de website¹ van de rijksoverheid. Daarnaast worden de functietitels van de leden ook gepubliceerd op de website van de rijksoverheid. De NFU heeft VWS geïnformeerd dat vanaf 2025 de namen van de leden van het beoordelingscomité ook gepubliceerd zullen worden. Het voorstel om de namen en rapporten van de referenten beschikbaar te maken, wordt niet overgenomen in de beleidsvisie. Het is de taak van het beoordelingscomité om aan te geven hoe het advies van de referenten en patiëntenorganisaties is meegenomen in de

¹ [Expertisecentra voor zeldzame aandoeningen | Kwaliteit van de zorg | Rijksoverheid.nl](#)

totstandkoming van het voorgenomen en het definitieve advies. Referentadviezen kunnen op verzoek geanonimiseerd worden opgevraagd. Bij deze overweging speelt ook mee dat het voor het beoordelingscomité op dit moment moeizaam is om voldoende referenten te vinden. De verwachting is dat dit met openbaar maken van de referenten nog moeilijker zal worden.

Ook is het niet ongebruikelijk om referenten een anonieme kwaliteitsbeoordeling te laten uitvoeren. De ECZA-procedure is hierin niet uniek en dit gebeurt ook bij subsidieaanvragen die worden ingediend bij ZonMw. Bovendien worden bij wetenschappelijke artikelen die gepubliceerd worden, ook door anonieme referenten uit hetzelfde vakgebied beoordeeld. Daarnaast moeten referenten hun werk onafhankelijk kunnen uitvoeren. Het is belangrijk dat referenten anoniem blijven, zodat zij zich vrij voelen om een beoordeling uit te voeren op basis van hun professionele expertise. Het beoordelingscomité ziet erop toe dat referenten dit op zorgvuldige wijze doen. Daarin volgt NFU de Nederlandse gedragscode wetenschappelijke integriteit.

Uit de reacties blijkt dat het niet duidelijk is hoe het beoordelingscomité handelt indien er geen oordeel gevormd kan worden op basis van stukken of advies (of het ontbreken ervan). Dit is geen onderdeel van de beleidsvisie. De NFU maakt op basis van de beleidsvisie een werkinstructie, waarin de verschillende stappen binnen de procedure nader worden toegelicht evenals de wijze waarop het beoordelingscomité de beoordelingen uitvoert.

Voor verdere kwaliteitsverbetering wordt voorgesteld om het beoordelingscomité uit te breiden en subcommissies in te stellen. Vanaf 2025 is er al een uitbreiding voorzien van 2 nieuwe leden.

De NFU maakt op basis van de beleidsvisie een werkinstructie, waarin de verschillende stappen binnen de procedure nader worden toegelicht evenals de wijze waarop het Beoordelingscomité de beoordelingen uitvoert.

De suggestie om nieuwe stukken later in de procedure ook toe te laten, wordt niet overgenomen. Het beperkt toelaten van nieuwe stukken kan alleen als deze niet opnieuw inhoudelijk door de referent of patiëntenorganisatie beoordeeld hoeven te worden. Dit is nodig zodat de procedure binnen de gestelde termijn van één kalender jaar uitgevoerd kan worden. Het benaderen van referenten en patiëntenorganisaties, het opnieuw beoordelen van de nieuwe stukken door referenten en het opnieuw formuleren van het advies van het beoordelingscomité kost namelijk veel tijd. Aangezien het een jaarlijkse ronde betreft, kan in het volgende jaar opnieuw een aanvraag ingediend worden.

Ingangstoets

De suggestie om ook een erkenning aan te vragen voor een zeldzame aandoening die slechts in een bepaalde leeftijdscategorie of levensfase voorkomt, wordt niet overgenomen omdat geen ERN zich hierop richt. Mocht vanuit Europa anders besloten worden, dan zal de beleidsvisie hierop worden aangepast.

Zienswijze procedure

Een aantal respondenten meent dat de rechtsbescherming (van de patiëntenorganisaties) in de procedure onvoldoende geborgd is met de voorgestelde beleidsvisie. Aangegeven wordt dat er in de zienswijze procedure geen mogelijkheid gegeven is voor een inhoudelijk heroverweging en bij een afwijzing het jaar daarop opnieuw een aanvraag gedaan kan worden. VWS wil hier graag benadrukken dat de zienswijze procedure bedoeld is om de rechtsbescherming van de betrokkenen te waarborgen en zorgt ervoor dat VWS zorgvuldig handelt bij het nemen van een beslissing. De bezwaarprocedure zoals opgenomen in de Algemene wet bestuursrecht blijft gehandhaafd. Het is de verantwoordelijkheid van het beoordelingscomité om de expertise van de referenten en het advies van de patiëntenorganisaties te wegen, evenals de zienswijzen die op het voorgenomen advies worden gegeven.

Herbeoordeling

Het inrichten van een aparte erkenningsprocedure voor herbeoordelingen is niet wenselijk. De zorg in een ECZA is aan verandering onderhevig, vooral in een periode van 5 jaar. Zo ook de wet- en regelgeving, ik hecht er daarom aan dat ECZA's met een erkenning ook na 5 jaar nog steeds voldoen aan de gestelde eisen en dat als zodanig ook kunnen aantonen. Zoals bij alle aanvragen kunnen bestaande ECZA bij de zienswijzeprocedure ook op het (voorgenomen) advies reageren en zo nodig aanvullende informatie aanleveren.

3.5 Indicatoren per eis voor toetsing ECZA

Concrete suggesties voor aanpassingen per eis worden door meerdere respondenten gedaan. Bepaalde begrippen moeten beter uitgelegd of aangepast worden. Zo kunnen voor zeer zeldzame aandoeningen geen richtlijnen worden ontwikkeld en moet worden gesproken over kwaliteitsstandaard. Patiëntenorganisaties zouden ook betrokken moeten zijn bij het ontwikkelen van een kwaliteitsstandaard. Daarnaast kunnen een aantal indicatoren worden geschrapt omdat deze niet haalbaar zijn of niet voor elke zeldzame aandoening van toepassing zijn. Er zijn ook indicatoren die moeten worden aangescherpt of toegevoegd en mogelijk ook met cluster specifieke criteria of dat een ECZA beschikbaar moet zijn voor consultatie door zorgverleners vanuit alle zorgdomeinen.

De coördinerende rol van een ECZA binnen een netwerk van overige ziekenhuizen en zorgvoorzieningen is essentieel en moet worden uitgebreid. Tastbaar en herleidbaar bewijs van samenwerking met patiëntenorganisaties moet worden aangeleverd in plaats van alleen maar inzicht geven in hoe de inbreng wordt benut.

Reactie VWS

Er zijn veel suggesties gedaan om eisen en indicatoren aan te passen. Hier is nogmaals goed naar gekeken. Verschillende indicatoren zijn na de internetconsultatie aangepast ter verduidelijking (tekstueel). Voor een goed lopende volgorde van de eisen is de volgorde aangepast. Ten eerste is de volgorde van de eisen 1 en 3 omgewisseld. Vervolgens is in eis 1 verduidelijkt waaraan het zorgpad dient te voldoen. Aan indicator 1.1 is toegevoegd dat het zorgpad de bijbehorende ORPHACode en een toelichting op de samenwerking in de regio en andere centra bevat. Deze informatie moest ook onder de vorige beleidsvisie al worden aangeleverd, maar is nu opgenomen in een indicator. Tot slot is aan indicator 9.1 toegevoegd dat het kandidaat ECZA ook kan worden benaderd door zorgverleners bij verdenking op en behandeling van de betreffende zeldzame aandoening. Alle wijzigingen betreffen een verduidelijking en leiden niet tot een verzwaring van eisen en indicatoren. Dit betreft geen inhoudelijke wijziging.

Niet alle indicatoren zijn verplicht om te voldoen aan de eis. In de bijlage "uitwerking indicatoren per eis voor toetsing ECZA" is door middel van de woorden 'in beginsel' verduidelijkt dat van deze indicatoren niet kan worden afgeweken, tenzij dat voor belanghebbenden gevolgen zou hebben die wegens bijzondere omstandigheden onevenredig zijn in verhouding tot de met deze beleidsvisie te dienen doelen. Artikel 4:84 van de Algemene wet bestuursrecht is van overeenkomstige toepassing.

Er werd aangegeven dat het niet realistische is om van een ECZA te verwachten dat zij altijd een patiëntenversie van het zorgpad beschikbaar hebben. Daarom is aangepast dat een kandidaat ECZA het zorgpad ter beschikking moet stellen aan de patiëntenorganisatie of dat een patiëntenversie beschikbaar moet zijn. In de werkinstructie van de NFU worden voorbeelden gegeven van patiënten versies van een zorgpad.

Van kandidaat ECZA wordt geen inspanningsverplichting geëist om kwaliteitsindicatoren te ontwikkelen indien deze er voor de zeldzame aandoening niet zijn. Er wordt geen indicator opgenomen waarmee kandidaat ECZA verplicht worden samen te werken met de patiëntenorganisatie op het gebied van wetenschappelijk onderzoek en medische scholing van zorgprofessionals. De patiëntenorganisaties hebben een eigen expertise en inbreng, waarbij niet van hen verwacht wordt dat zij betrokken zijn bij scholing van medische professionals. Daarnaast is inbreng van patiënten in de ontwikkeling van wetenschappelijk onderzoek opgenomen in de ERNs en daarom is het niet nodig een indicator op te nemen in de beleidsvisie. De kandidaat ECZA moet wel aantonen dat het samenwerkt met de patiëntenorganisatie om de kwaliteit van zorg te verbeteren. Nadere specificering wordt niet noodzakelijk geacht.

Op welke wijze het Beoordelingscomité beoordeelt hoe een kandidaat ECZA een leidende rol heeft in wetenschappelijk onderzoek heeft, wordt nader uitgewerkt door de NFU in de werkinstructie.

Voor wat betreft de (nieuwe) indicator 3.1 is aangegeven dat het begrip 'meerwaarde' beter omschreven moet worden. Zowel VWS als NFU zijn het daarover eens. De precieze uitwerking zal volgen mede aan de hand van een nog te ontwikkelen kader over wat de toegevoegde waarde van een ECZA zal zijn. Vooralsnog wordt de huidige omschrijving van de indicator gehandhaafd.

3.6 Overige aandachtspunten

Tot slot is een aantal wensen geuit en vragen gesteld over zaken die nu niet ter consultatie voorliggen. Zoals een verzoek voor meer vindbaarheid door bijvoorbeeld een voor eenieder toegankelijke overheidswebsite en een logo om herkenbaarheid aan de ECZA te geven. Ook zijn er nog tekstuele aanpassingen gevraagd ter verduidelijking.

Reactie VWS

Een aantal opmerkingen dat geen betrekking hebben op de concept beleidsvisie en die hierboven niet zijn genoemd, zijn doorgegeven aan de NFU en waar mogelijk verwerkt in de werkinstructie van de NFU.

4. Conclusies

4.1 Opsomming wijzigingen na consultatie:

De naamgeving van de beleidsvisie 2024 is aangepast naar de beleidsvisie 2025.

Aan hoofdstuk 3 is toegevoegd dat de voorzitter bij de samenstelling van het beoordelingscomité rekening houdt met een vertegenwoordiging van expertise.

In hoofdstuk 4 is in de schematische weergave van de jaarlijkse procedure verduidelijkt dat de instelling, en niet de medisch specialist, verantwoordelijk is voor de aanvraag. Daarnaast is een aantal deadlines verduidelijkt en is opnieuw, net als in de beleidsvisie expertisecentra zeldzame aandoeningen 2022, opgenomen dat de minister na erkenning Orphanet verzoekt om het overzicht van ECZA's op haar website aan te passen. Bij de toelichting op stap 2 uit het aanvraagproces is in algemene zin opgenomen dat de kandidaat ECZA de documentatie zoals opgenomen in het aanvraagformulier dient aan te leveren in plaats van een opsomming van aan te leveren documenten. In de toelichting op stap 3 uit het aanvraagproces is aangepast dat de VSOP de vermelde organisatie in het aanmeldformulier dient te benaderen, indien niemand van de achterban advies kan uitbrengen. Daarnaast is er een toelichting op stap 8 uit het aanvraagproces opgenomen. Hierin is toegelicht hoe het beoordelingscomité het advies van de referenten en patiëntenorganisaties dient mee te nemen in de totstandkoming van het definitieve advies. De geanonimiseerde referentrapporten kunnen op verzoek worden opgevraagd. Tot slot is aan de toelichting op stap 9 uit het aanvraagproces toegevoegd dat ook de patiëntenorganisaties het definitieve advies ontvangen van de minister.

In de bijlage zijn de eisen en indicatoren verder verduidelijkt. Ten eerste is de volgorde van de eisen 1 en 3 omgewisseld. Vervolgens is in eis 1 verduidelijkt waaraan het zorgpad dient te voldoen. Aan indicator 1.1 is toegevoegd dat het zorgpad de bijbehorende ORPHAcodes en een toelichting op de samenwerking in de regio en andere centra bevat. Deze informatie moest ook onder de vorige beleidsvisie al worden aangeleverd, maar is nu opgenomen in een indicator. Tot slot is aan indicator 9.1 toegevoegd dat het kandidaat ECZA ook kan worden benaderd door zorgverleners bij verdenking op en behandeling van de betreffende zeldzame aandoening. Alle wijzigingen betreffen een verduidelijking en leiden niet tot een verzwaring van eisen en indicatoren.

4.2 Opvolging

Naar aanleiding van de reacties in het kader van de internetconsultatie is de beleidsvisie op onderdelen aangepast. De beleidsvisie is op 3 december 2024 gepubliceerd in de Staatscourant en treedt in werking per 1 april 2025.