Beleidsvisie op grond van artikel 8, eerste lid, van de Wet op bijzondere medische verrichtingen met betrekking tot Nederlandse expertisecentra voor zeldzame aandoeningen die willen deelnemen aan een Europees referentienetwerk

Datum: 18 december 2020
Nummer: CZ-216176

Definities
Deze beleidsvisie heeft betrekking op (kandidaat) expertisecentra voor zeldzame aandoeningen. Ten behoeve van de leesbaarheid wordt hierna een omschrijving gegeven van een aantal veel gebruikte termen:

- *beoordelingscomité:* commissie van externe experts die in opdracht van de minister adviseert over de aanvraag van een kandidaat ECZA om als ECZA te worden erkend;
- *ECZA*: nationaal expertisecentrum voor een bepaalde zeldzame aandoening die daarvoor een erkenning heeft gekregen en dat onderdeel is van een of meerdere instellingen;
- *erkenning*: aanwijzing als bedoeld in artikel 8, tweede lid, van de wet door de minister van een nationaal expertisecentrum voor een bepaalde zeldzame aandoening als ECZA;
- *ERN:* Europees referentienetwerk van zorgaanbieders binnen de Europese Unie, op het gebied van zeldzame aandoeningen;
- *Gedelegeerd besluit:* Gedelegeerd besluit van de Europese Commissie 2014/286 van 10 maart 2014 tot vaststelling van de criteria en voorwaarden waaraan Europese referentienetwerken en zorgaanbieders die zich bij een Europees referentienetwerk willen aansluiten, moeten voldoen (*PbEU* 2014, L 147);
- *instelling:* academisch ziekenhuis, algemeen ziekenhuis, categoraal ziekenhuis of instelling waar hooggespecialiseerde zorg wordt geleverd voor een specifieke patiëntendoelgroep en die in Nederland is gevestigd;
- *kandidaat ECZA*: onderdeel van een of meerdere instellingen waarvoor de instelling een aanvraag voor een erkenning als ECZA heeft gedaan en waarvan de erkenningsprocedure nog niet is afgerond;
- *minister*: Minister voor Medische Zorg;
- *Richtlijn*: Richtlijn 2011/24/EU van het Europees Parlement en de Raad van 9 maart 2011 betreffende de toepassing van de rechten van patiënten bij grensoverschrijdende gezondheidszorg (*PbEU* 2011, L 88);
- *Uitvoeringsbesluit*: Uitvoeringsbesluit van de Commissie 2014/287 van 10 maart 2014 tot vaststelling van de criteria voor de oprichting en evaluatie van Europese referentienetwerken en de leden daarvan en voor de bevordering van de uitwisseling van informatie en expertise in verband met de oprichting en evaluatie van dergelijke netwerken (*PbEU* 2014, L 147);
- *wet*: Wet op bijzondere medische verrichtingen;
- *zeldzame aandoening:* aandoening die minder dan 1 op de 2.000 personen heeft en die vermeld staat in het classificatiesysteem Orphanet[1].

Inleiding

Er zijn naar schatting meer dan 1 miljoen mensen in Nederland die zelf lijden aan of via een gezinslid betrokken zijn bij zeldzame aandoeningen.[2] Het aandeel mensen met een zeldzame aandoening op de totale bevolking komt overeen met landen om ons heen, zoals Duitsland, België en Frankrijk. Door het grote aantal verschillende zeldzame aandoeningen en de kleine aantallen patiënten is het lastig om een zeldzame aandoening goed te diagnosticeren en de behandeling te verbeteren. Afzonderlijke lidstaten van de Europese Unie (EU) kunnen niet voor alle verschillende zeldzame aandoeningen eigen kenniscentra ontwikkelen door een gebrek aan expertise of door een (te) kleine groep patiënten in het eigen land. Netwerkvorming en de bundeling van expertise, kennis en ervaring binnen de

[1] www.orpha.net

[2] ZonMw Slotadvies Afstemmingsoverleg Zeldzame Ziekten, Den Haag: ZonMw, 2017.

EU is daarom noodzakelijk om te kunnen voldoen aan de zorgvraag van deze groep patiënten. Om die reden is in de Richtlijn bepaald dat de Europese Commissie de lidstaten ondersteunt bij het opzetten van ERN's. Een ERN geeft aan zijn taak vorm doordat de leden elkaar adviseren bij casuïstiek, kennisdeling en gegevensverzameling en het opstellen en verspreiden van zorgstandaarden en richtlijnen en het versterken van onderzoek.[3] Ook coördineert een ERN grensoverschrijdende gezondheidszorg waarbij patiënten met een zeldzame aandoening naar andere expertisecentra binnen de EU worden doorverwezen of biologische monsters naar expertisecentra binnen de EU worden gestuurd.

In het Uitvoeringsbesluit is bepaald dat de aanvrager van een lidmaatschap van een ERN een schriftelijke verklaring moet overleggen van de lidstaat van vestiging dat de deelname aan een ERN in overeenstemming is met de nationale wet- en regelgeving van deze lidstaat. Om een dergelijke verklaring te krijgen moet een in Nederland gevestigde kandidaat ECZA op grond van artikel 8, tweede lid, van de wet, in samenhang gelezen met deze beleidsvisie, worden aangewezen als ECZA. Deze beleidsvisie bevat de eisen en procedure voor het verkrijgen van een dergelijke aanwijzing (in het vervolg wordt deze aanwijzing 'erkenning' genoemd). Een erkenning als bedoeld in deze beleidsvisie kan worden beschouwd als een schriftelijke verklaring als bedoeld in de artikelen 3, derde lid, of 8, derde lid, van het Uitvoeringsbesluit. Na het verkrijgen van een erkenning als ECZA, kan het ECZA een aanvraag indienen bij de Europese Commissie om als lid aan een ERN deel te nemen. Het Gedelegeerd besluit beschrijft vervolgens de eisen waaraan aanvragen van een lidmaatschap van een ERN in Europees verband worden getoetst.

Eisen voor het verkrijgen van een erkenning als ECZA

De minister kan op grond van artikel 8 van de wet op aanvraag van een instelling een of meer van zijn onderdelen erkennen als ECZA. De ECZA is bijvoorbeeld een ziekenhuisafdeling, aangevuld met aanbieders van technologische diensten zoals laboratoria, radiologische diensten of nucleaire geneeskunde. Een instelling kan voor verschillende van zijn onderdelen een erkenning als ECZA aanvragen, en dus beschikken over meerdere erkenningen, indien de expertises van deze onderdelen van de instelling daadwerkelijk verschillend zijn en voldoen aan de eisen van deze beleidsvisie.

De eisen zijn gebaseerd op de Richtlijn, het Gedelegeerd besluit en het Nederlandse beleid om de zorg voor patiënten met een zeldzame aandoening verder te verbeteren, zoals beschreven in de brief 'Beleid ten aanzien van (expertisecentra voor) zeldzame aandoeningen' die in januari 2021 aan de Tweede Kamer is verzonden. Om een erkenning als ECZA te krijgen, moet het kandidaat ECZA aan de eisen uit de bijlage voldoen. Dit zijn eisen op het gebied van kwaliteit van zorg, onderzoek, continuïteit, samenwerking met andere partijen, informatie en communicatie en grensoverschrijdende gezondheidszorg. In de bijlage zijn per eis indicatoren opgenomen die indiceren wanneer aan de desbetreffende eis is voldaan. Sommige indicatoren moeten aanwezig zijn om te voldoen aan de desbetreffende eis. Bij de indicatoren waar dit voor geldt is dit expliciet aangegeven in de bijlage. Andere indicatoren geven een indicatie dat aan de eis is voldaan. Ook aan deze indicatoren moet in beginsel worden voldaan. Echter indien het kandidaat ECZA voldoende en deugdelijk kan motiveren waarom dat in zijn geval niet noodzakelijk is, dan kan hiervan worden afgeweken.

Voorts zijn er eisen en criteria uit het Gedelegeerd besluit waar een instelling al aan moet voldoen in het kader van nationale wet- en regelgeving (hierna: algemene wettelijke eisen). Deze algemene wettelijke eisen zijn niet opgenomen in de bijlage en daaraan wordt ook niet getoetst door het beoordelingscomité. Dit betreft bijvoorbeeld eisen op het gebied van transparantie over de kwaliteit van zorg, klachtenprocedures en tarieven. Als er aanwijzingen zijn dat niet wordt voldaan aan deze algemene wettelijke eisen, kan de minister een aanvraag om een erkenning afwijzen.

[3] Doelstellingen van de ERN's staan beschreven in artikel 12, tweede lid, van de Richtlijn.

Procedure voor het verkrijgen van een erkenning als ECZA

Hierna volgt een schematische weergave van de procedure, gevolgd door een toelichting inzake de belangrijkste stappen in de procedure.

Stap	Stap aanvraagproces	Stappen aanvraagproces
1	Indienen aanvraag tot verlening van een erkenning	De instelling dient bij de minister een aanvraag in voor erkenning van een of meerdere ECZA's voor een (cluster van) zeldzame aandoening(en). Onderdeel van de aanvraag is dat iedere kandidaat ECZA de gegevens aanlevert die nodig zijn om te bepalen of het kandidaat ECZA aan de eisen van de ingangstoets en de beoordelingscriteria voldoet. De minister stuurt de aanvraag door naar het beoordelingscomité met het verzoek om hem te adviseren over de vraag of wordt voldaan aan de ingangstoets en aan de eisen zoals opgenomen in de bijlage.
2	Ingangstoets	In deze stap toetst het beoordelingscomité per kandidaat ECZA of de aanvraag voldoet aan de eisen zoals opgenomen in deze beleidsvisie onder het kopje "Ingangstoets". Indien hieraan niet wordt voldaan door het kandidaat ECZA, worden de stappen 3 en 4 voor deze ECZA niet doorlopen en wordt dit in stap 5 gemeld aan de minister. Indien het kandidaat ECZA wel aan de ingangstoets voldoet, worden de stappen 3 en 4 wel uitgevoerd ten behoeve van het advies van stap 5.
3	Uitbrengen adviezen door referenten en patiëntenorganisaties	Per kandidaat ECZA wordt door het beoordelingscomité aan referenten en patiëntenorganisaties gevraagd om een advies uit te brengen waarin vanuit hun expertise wordt beoordeeld of aan de eisen, opgenomen in de bijlage, wordt voldaan.
4	Materiële toets	Het beoordelingscomité neemt de uitgebrachte adviezen door de referenten en patiëntenorganisatie(s) in overweging en stelt een eigen advies op, op basis van eigen expertise en deskundigheid, waarbij getoetst wordt of het kandidaat ECZA voldoet aan de eisen, opgenomen in de bijlage bij deze beleidsvisie.
5	Vaststellen en toesturen van het advies	Het beoordelingscomité stelt het advies vast. De voorzitter van het beoordelingscomité stuurt het advies aan de minister.
6	Besluitvorming erkenningen	De minister neemt een besluit op de aanvraag en stuurt dat besluit naar de aanvrager.
7	Bijwerken overzicht erkenningen	Indien de aanvraag wordt gehonoreerd, verzoekt de minister Orphanet om het overzicht van ECZA's aan op haar website aan te passen na het verstrijken van de termijn voor bezwaar en beroep.

Toelichting

1. Indienen aanvraag tot verlening van een erkenning
De instelling dient een aanvraag in bij de minister voor erkenning van een of meerdere ECZA's voor een (cluster van) zeldzame aandoening(en). De instelling maakt hierbij gebruik van een aanvraagformulier, wat ter beschikking wordt gesteld op de website van het ministerie van VWS en de website van de NFU. In de aanvraag is aangegeven per kandidaat ECZA welke zeldzame aandoening(en) en/of clusters van zeldzame aandoening(en) de kandidaat ECZA erkenning wil en met elke codes deze aandoeningen vermeld staan in het classificatiesysteem Orphanet[4]. Per kandidaat ECZA kunnen meerdere Orphanetcodes aangeven worden en deze hoeven niet hetzelfde niveau te hebben in de Orphanetclassificatie. Een instelling, dat een samenwerkingsverband vormt met een andere instelling, kan eveneens een erkenning aanvragen voor een kandidaat ECZA.

2. Ingangstoets
In deze stap wordt getoetst of aan de volgende eisen is voldaan door het kandidaat ECZA:

- De expertise waarvoor erkenning als ECZA wordt gevraagd heeft betrekking op een of meerdere zeldzame aandoeningen, die vermeld staan in het classificatiesysteem Orphanet;
- Het kandidaat ECZA stelt integrale expertise te hebben voor een zeldzame aandoening Een interventie of specifieke behandeling (zoals bijv. robotchirurgie) wordt niet als een zeldzame aandoening aangemerkt evenmin expertise voor een aandoening die slechts in een bepaalde leeftijdscategorie of levensfase (bv. op kinderleeftijd of tijdens een zwangerschap) zelden voorkomt;
- Het betreft een of meerdere zeldzame aandoeningen waarvoor één of meerdere onderdelen van de instelling niet al een erkenning hebben als ECZA voor de desbetreffende zeldzame aandoening op 1 of 2 hogere niveaus in de Orphanetclassificatie (bijvoorbeeld al erkenning op een overkoepelend cluster van aandoeningen waar deze aandoening(en) onder vallen);
- Het kandidaat ECZA heeft ten minste één aandoening opgenomen dat minimaal het niveau van een ERN subthema betreft[5].
- Binnen één subthema van een ERN kan door een instelling slechts ten behoeve van één kandidaat ECZA erkenning worden aangevraagd.

Het niet voldoen aan bovenstaande eisen wordt vermeld in het advies van het beoordelingscomité en leidt tot een afwijzing van de aanvraag van de instelling. Dit is niet het geval voor de laatste twee eisen indien er op het moment van erkenning voor het betreffende expertisegebied geen subthema bestaat voor de betreffende ziektebeelden binnen een bestaand ERN of wanneer er nog geen ERN voor dit expertisegebied bestaat.

3. Selectie en rol referent
De referent is een zorgprofessional met inhoudelijke deskundigheid en ervaring op het gebied van de behandeling van de zeldzame aandoening waarop de aanvraag ziet of een aandoening uit dezelfde Orphanet hoofdgroep van clustering. Ten minste één referent heeft wetenschappelijk onderzoek verricht naar een aandoening uit dezelfde Orphanet clustering. De Nederlandse Federatie van Universitair Medische Centra (hierna: NFU) draagt onafhankelijke referenten voor. Zij zijn bij voorkeur lid van de Wetenschappelijke Advies Raad (hierna: WAR) van Orphanet Nederland. Een referent ontvangt digitaal de gegevens die door de instelling m.b.t. het kandidaat ECZA zijn aangeleverd en stelt met behulp van die gegevens en zijn eigen expertise een beoordelingslijst op en stelt zijn advies op.

Selectie en rol patiëntenorganisatie

[4] https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php

[5] Een ERN subthema betreft een (cluster van) zeldzame aandoening(en). Per ERN subthema is door de Orphanet NL coördinator een vertaalslag gemaakt naar de best passende Orphacode(s) indien deze niet door het ERN zelf zijn aangegeven.

De patiëntenorganisatie is een organisatie met ervaringsdeskundigheid op het gebied van de zorg voor de zeldzame aandoening waarvoor een erkenning als ECZA is verzocht. Het betreft een organisatie van (ouders of familie van) patiënten, waarvan in ieder geval een deel van de patiënten deze aandoening zelf heeft. De Vereniging Samenwerkende Ouder- en Patiëntenorganisaties – Patiëntenkoepel voor zeldzame en genetische aandoeningen (hierna: VSOP) nodigt de desbetreffende patiëntenorganisaties uit voor deelname aan de adviesprocedure. De patiëntenorganisatie ontvangt digitaal de door de instelling met betrekking tot het kandidaat ECZA aangeleverde gegevens, voor zover die nodig zijn t.b.v. het opstellen van het advies door de patiëntenorganisatie, en stelt desgewenst met ondersteuning vanuit de VSOP een advies op. Indien de desbetreffende patiënten (nog) niet als rechtspersoon of patiëntenorganisatie zijn georganiseerd, kunnen zij zich laten vertegenwoordigen door een andere patiëntenorganisatie.

4. Materiële toets
In deze stap wordt getoetst of een kandidaat ECZA voldoet aan de eisen zoals beschreven in de bijlage, behorende bij deze beleidsvisie.

5. Samenstelling en werkwijze beoordelingscomité
De materiële beoordeling van de aanvragen om een kandidaat ECZA als ECZA te erkennen vereist specifieke expertise en deskundigheid op het gebied van zeldzame aandoeningen. Daarnaast bestaat de wens om een kritisch oordeel te krijgen en om een onafhankelijk advies te verkrijgen over de aanvraag om een kandidaat ECZA als ECZA te erkennen. Daartoe worden externe adviseurs ingezet die deelnemen in een beoordelingscomité. De advisering wordt verricht op basis van deze beleidsvisie en de bijbehorende bijlage.

De voorzitter van het beoordelingscomité wordt door de minister aangewezen op voordracht van het bestuur van de NFU, gehoord hebbende het advies van vertegenwoordigers van de samenwerkende topklinische ziekenhuizen, de algemene ziekenhuizen, de VSOP en Orphanet-NL. De voorzitter stelt vervolgens het beoordelingscomité samen op advies van dezelfde vertegenwoordigers en houdt daarbij rekening met een evenredige representatie uit verschillende categorieën van instellingen waar ECZA's zijn gevestigd. Dit betreft met name de universitair medische centra en de topklinische ziekenhuizen. Het beoordelingscomité omvat naast de voorzitter met inhoudelijke expertise op het terrein van zeldzame aandoeningen minimaal twee leden met algemene expertise op (clusters) van zeldzame aandoeningen, afkomstig uit de WAR en twee leden op voordracht van de VSOP, met kennis van het veld van zeldzame aandoeningen, de betreffende patiëntenorganisaties en het patiëntperspectief.

De adviezen van de referenten en patiëntenorganisaties worden naar het beoordelingscomité gestuurd. Het beoordelingscomité komt mede op basis van deze adviezen tot een gewogen, eigenstandig en gemotiveerd advies ten aanzien van de aanvraag van het kandidaat ECZA.
Het beoordelingscomité geeft in het advies per kandidaat ECZA aan of deze voor erkenning in aanmerking komt. Het beoordelingscomité geeft in het advies aan tot welke categorie het kandidaat ECZA behoort. Dit betreft één van de volgende drie categorieën:

- volledig erkennen als ECZA voor de aangevraagde (groepen van) zeldzame aandoening(en);
- deels erkennen als ECZA voor een deel van de aangevraagde (groepen van) zeldzame aandoeningen;
- niet erkennen als ECZA voor de aangevraagde (groepen van) zeldzame aandoening(en).

6. Besluitvorming erkenningen
De minister besluit op basis van het advies van het beoordelingscomité of de aanvraag van de instelling wordt gehonoreerd en stuurt de beschikking naar de instelling. De minister kan een besluit tot erkenning weigeren als er aanwijzingen zijn dat niet wordt voldaan aan de algemene wettelijke eisen.

Verplichtingen voor een ECZA

Een ECZA neemt indien mogelijk deel aan een ERN en coördineert en adviseert indien nodig, grensoverschrijdende gezondheidszorg met aangewezen ECZA's in andere EU-landen. Het ECZA werkt binnen een ERN samen door kennis en expertise op het gebied van

de zeldzame aandoening, waarvoor erkenning als ECZA is verleend, te bundelen en deze zorg blijvend te verbeteren. Het ECZA draagt in dit verband bij aan het vindbaar en toegankelijk maken van reeds beschikbare informatie over de zeldzame aandoening waar zij expertise over heeft door middel van informatie voor patiënten, wetenschappelijke publicaties en onderwijs op medisch-wetenschappelijk en sociaalwetenschappelijk gebied. Daarnaast draagt het ECZA bij aan informatieverzameling om meer inzicht en kennis over de aandoening te verkrijgen. Dit alles tezamen met als doel om kwalitatief hooggespecialiseerde complexe patiëntenzorg te kunnen leveren aan patiënten met zeldzame aandoeningen.

Geldigheid en intrekking van een erkenning als ECZA

Een afgegeven erkenning vervalt van rechtswege vijf jaar na de datum van uitgifte. Daarnaast kan de minister de erkenning intrekken als de ECZA of de instelling waarvan de ECZA deel uitmaakt:

- de erkenning vrijwillig opgeeft;
- niet langer voldoet aan de eisen die in deze beleidsvisie en bijbehorende bijlage zijn gesteld. Dit kan onder meer blijken uit een evaluatie op grond van artikel 14 van het Uitvoeringsbesluit;
- indien het ECZA het lidmaatschap van het ERN heeft verloren op grond van artikel 12, eerste lid, onderdelen a, b, d, e, of f, van het Uitvoeringsbesluit
- niet voldoet aan de eisen en criteria uit het Gedelegeerd besluit waar de instelling aan moet voldoen in het kader van nationale wet- en regelgeving.

Met het intrekken van de erkenning wordt de ECZA ervan in kennis gesteld dat zijn deelname aan een ERN niet langer in overeenstemming is met de nationale wetgeving, hetgeen op grond van artikel 12, tweede lid, van het Uitvoeringsbesluit aan de Europese Commissie moet worden gemeld en ingevolge artikel 12, onderdeel c, van het Uitvoeringsbesluit reden kan zijn om een bestaand lidmaatschap aan een ERN te verliezen.

Deze beleidsvisie is niet van toepassing op erkenningen die zijn afgegeven voor het tijdstip van inwerkingtreding van deze beleidsvisie.

Inwerkingtreding en bekendmaking

Deze beleidsvisie treedt in werking met ingang van 1 februari 2021 en zal in de Staatscourant worden geplaatst.

De Minister voor Medische Zorg,

T. van Ark