

Beleidsvisie expertisecentra zeldzame aandoeningen 2024, Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport

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 volgt

Kenmerk volgt

Wijzigingen ten opzichte van de Beleidsvisie expertisecentra zeldzame aandoeningen 2022

De Beleidsvisie expertisecentra zeldzame aandoeningen 2024 is de opvolger van Beleidsvisie expertisecentra zeldzame aandoeningen 2022. De Beleidsvisie expertisecentra zeldzame aandoeningen 2024 (hierna: beleidsvisie) is in zijn geheel opnieuw vastgesteld en bevat enkele wijzigingen ten opzichte van de vorige versie. In het hiernavolgende worden deze wijzigingen uiteengezet.

Ten behoeve van de leesbaarheid zijn er nummers toegevoegd aan de paragrafen in de beleidsvisie. De beleidsvisie bestaat uit de hoofdstukken 1 tot en met 7 en een bijlage.

Om de rollen en verantwoordelijkheden van de verschillende partijen in de beoordelingsprocedure inzichtelijker te maken is er in hoofdstuk 1 voor twee begrippen een definitie toegevoegd, namelijk de begrippen 'referent' en 'patiëntenorganisatie'. Dit verduidelijkt het onderscheid tussen 'referenten' die het beoordelingscomité vanuit medisch specialistisch perspectief adviseren, en 'patiëntenorganisaties' die vanuit ervaringsdeskundigheid een advies uitbrengen.

Een aantal bestaande definities is verduidelijkt. Voor het begrip 'expertisecentrum zeldzame aandoeningen' (ECZA) is een aparte definitie opgenomen. In de definitie van 'ECZA' is verduidelijkt dat dit een afkorting betreft van het begrip 'expertisecentrum zeldzame aandoeningen'. In de definitie van 'zeldzame aandoening' is verduidelijkt dat ook ultrazeldzame ziekten daaronder vallen. Het betreft een aandoening die bij minder dan 1 op de 50.000 personen voorkomt. De toevoeging van de verduidelijking heeft als reden dat het beoordelingscomité in het geval van een ultrazeldzame aandoening de eisen en criteria uit de bijlagen anders dient te wegen, bijvoorbeeld bij de weging van eis 2 en eis 5, omdat bijvoorbeeld over een ultrazeldzame aandoening doorgaans minder wordt gepubliceerd.

In hoofdstuk 3 is toegelicht dat op de website van de NFU extra uitleg zal worden gegeven over de eisen en indicatoren uit de bijlage en de wijzigingen hierin ten opzichte van de vorige beleidsvisie. Dit kan instellingen helpen bij het doen van een aanvraag. Daarnaast wordt in hoofdstuk 3 de rol en samenstelling van het beoordelingscomité verduidelijkt.

In hoofdstuk 4 zijn enkele wijzigingen doorgevoerd ter verduidelijking van de beoordelingsprocedure. Zo is verduidelijkt dat het gaat om een jaarlijkse procedure, waarbij een beoordelingscomité een advies uitbrengt en tevens referenten en patiëntenorganisaties worden benaderd, waardoor na de aanvraag beperkt nieuwe stukken kunnen worden toegelaten. Tevens is toegelicht dat er een gezamenlijke aanvraag kan worden gedaan door meerdere kandidaat ECZA en dat dit verschilt van een aanvraag van een kandidaat ECZA waarbij een samenwerkingsorganisatie betrokken is. 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. Het betreft geen nieuwe stap in de beoordeling, maar een verduidelijking van de procedure. Bij de compleetheidscheck worden de stukken niet inhoudelijk beoordeeld. Ook de selectie en rol van referenten en patiëntenorganisaties is verduidelijkt. Nieuw is de 'zienswijzeprocedure' die is opgenomen als onderdeel van het beoordelingsproces. 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 (bij voorkeur 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.

In de bijlage zijn de eisen en indicatoren verduidelijkt. Daarbij is rekening gehouden met wijzigingen vanuit Europese wet- en regelgeving. In de Beleidsvisie expertisecentrum zeldzame aandoeningen 2022 waren 12 eisen opgenomen. In deze beleidsvisie 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 en geherformuleerd met als doel specifieke onderwerpen beter te clusteren, zoals vereisten met betrekking tot het zorgpad. 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. Zoals ook het geval was bij de vorige beleidsvisie moeten sommige indicatoren aanwezig zijn om te voldoen aan de desbetreffende eis. In deze bijlage 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 Awb is van overeenkomstige toepassing.

1. Definities

In deze beleidsvisie wordt verstaan onder:

- *beoordelingscomité*: onafhankelijke commissie van experts die in opdracht van de minister adviseert over de aanvraag van een kandidaat ECZA om als ECZA te worden erkend;
- *ECZA*: expertisecentrum zeldzame aandoeningen;
- *erkenning*: aanwijzing als bedoeld in artikel 8, tweede lid, van de wet door de minister van een expertisecentrum in Nederland voor een bepaalde zeldzame aandoening als ECZA;
- *ERN*: Europees referentienetwerk van zorgaanbieders binnen de Europese Unie, op het gebied van zeldzame aandoeningen;
- *expertisecentrum zeldzame aandoeningen*: een expertisecentrum in Nederland voor een of meerdere zeldzame aandoeningen die daarvoor een erkenning heeft gekregen en dat onderdeel is van een of meerdere instellingen;
- *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 of categoriaal ziekenhuis dat in Nederland is gevestigd;
- *kandidaat ECZA*: een instelling die al dan niet gezamenlijk met een andere instelling voor een of meerdere onderdelen van een instelling een aanvraag voor erkenning als ECZA heeft respectievelijk hebben gedaan waarvan de erkenningsprocedure nog niet is afgerond;
- *minister*: minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport;
- *patiëntenorganisatie*: een organisatie van of voor patiënten met ervaringsdeskundigheid op het gebied van de zorg voor patiënten met een zeldzame aandoening;
- *referent*: medisch specialist die door het beoordelingscomité wordt gevraagd om, op basis van diens medische expertise op het gebied van de betreffende zeldzame aandoening, te toetsen of de kandidaat ECZA voldoet aan de eisen in deze beleidsvisie;
- *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);
- *samenwerkingsorganisatie*: organisatie, niet zijnde een instelling, die nauw betrokken is bij het leveren van zorg ten behoeve van een zeldzame aandoening en zonder welke de kandidaat-ECZA geen erkenning kan verkrijgen;
- *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);
- *ultrazeldzame aandoening*: aandoening die bij minder dan 1 op de 50.000 personen voorkomt;
- *Wet*: Wet op bijzondere medische verrichtingen;
- *zeldzame aandoening*:
 1. een aandoening die minder dan 1 op de 2.000 personen heeft en die vermeld staat in het classificatiesysteem Orphanet¹; of
 2. een tumor die bij minder dan 6 op de 100.000 personen per jaar voorkomt en die vermeld staat in het classificatiesysteem Orphanet²; of

¹ www.orpha.net

² www.orpha.net

3. een ultrazeldzame aandoening³.

2. Inleiding

Er zijn naar schatting meer dan 1 miljoen mensen in Nederland met (een aanleg voor) een zeldzame aandoening.⁴ 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 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 Europees referentienetwerk (ERN's). Een ERN geeft aan zijn taak vorm doordat de leden elkaar adviseren bij casuïstiek, kennisdeling en gegevensverzameling en bij het opstellen en verspreiden van zorgstandaarden en richtlijnen en het versterken van onderzoek.⁵ 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 expertisecentrum zeldzame aandoeningen (hierna: ECZA). Een ECZA is een expertisecentrum in Nederland voor een of meerdere zeldzame aandoeningen die daarvoor een erkenning heeft gekregen van de minister van VWS en dat onderdeel is van een of meerdere instellingen. 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.

3. Beoordeling aanvraag tot erkenning als ECZA

De minister kan op grond van artikel 8 van de wet op aanvraag van een instelling een of meer onderdelen van een instelling erkennen als ECZA. Het 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.

Eisen voor het verkrijgen van een erkenning als ECZA

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 verzonden⁶. 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. Indien de kandidaat ECZA echter voldoende en deugdelijk kan motiveren

³ [Ultra-rare disease: an European perspective | European Respiratory Society \(ersjournals.com\)](https://www.ersjournals.com)

⁴ ZonMw Slotadvies Afstemmingsoverleg Zeldzame Ziekten, Den Haag: ZonMw, 2017.

⁵ Doelstellingen van de ERN's staan beschreven in artikel 12, tweede lid, van de Richtlijn.

⁶ Kamerstuk 31 765, nr. 542.

waarom dat in zijn geval niet noodzakelijk is, kan hiervan worden afgeweken. In het document op de website van de NFU⁷ wordt extra uitleg gegeven over de eisen en indicatoren uit de bijlage. Dit kan instellingen helpen bij het doen van een aanvraag. Daarnaast is ook in het document op de website van de NFU aangegeven wat de wijzigingen van de eisen en indicatoren zijn ten opzichte van de vorige beleidsvisie.

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.

Beoordelingscomité

De beoordeling van de aanvragen om een kandidaat ECZA als ECZA te erkennen vereist specifieke expertise en deskundigheid op het gebied van zeldzame aandoeningen. Daartoe is een onafhankelijk beoordelingscomité ingesteld. Het beoordelingscomité brengt advies uit aan de minister op basis van deze beleidsvisie en de eisen en indicatoren uit de bijbehorende bijlage. Het beoordelingscomité spant zich in om bij de totstandkoming van het advies tevens referenten, met inhoudelijke deskundigheid en ervaring, en een patiëntenorganisatie, met ervaringsdeskundigheid, te betrekken.

De voorzitter van het beoordelingscomité wordt door de minister aangewezen op voordracht van het bestuur van de NFU, met daarbij het advies van vertegenwoordigers van de samenwerkende topklinische ziekenhuizen, de algemene ziekenhuizen, de Patiëntenkoepel voor zeldzame en genetische aandoeningen (hierna: 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 bestaat, naast de voorzitter met inhoudelijke expertise op het terrein van zeldzame aandoeningen, uit minimaal twee medisch specialisten met expertise op het gebied van (clusters) zeldzame aandoeningen en twee leden op voordracht van de VSOP, met kennis uit het veld van zeldzame aandoeningen, de betreffende patiëntenorganisaties en het patiëntperspectief. Het comité wordt ondersteund door een secretaris. De samenstelling van het beoordelingscomité is terug te vinden op de website van de Rijksoverheid. De adviezen van de referenten en de adviezen van patiëntenorganisaties worden in het conceptadvies meegenomen. Het beoordelingscomité stuurt het advies aan de minister. De leden van het comité onthouden zich van beoordeling of advies van een kandidaat ECZA waarmee zij een belang zouden kunnen hebben.

4. Jaarlijkse procedure voor het verkrijgen van een erkenning als ECZA

Hierna volgt een schematische weergave van de jaarlijkse procedure, gevolgd door een toelichting op de belangrijkste actoren in de procedure.

Stap	Stap aanvraagproces	Stappen aanvraagproces	Deadline
1	Indienen aanvraag tot verlening van een erkenning	<ul style="list-style-type: none"> De instelling dient namens de inhoudelijk verantwoordelijke medisch specialist een aanvraag voor erkenning van een of meerdere ECZA's voor een (cluster van) zeldzame aandoening(en) in bij de minister. De instelling ontvangt een ontvangstbevestiging en wordt een kandidaat ECZA. De minister stuurt de aanvraag door naar het beoordelingscomité met het verzoek te adviseren over de vraag of wordt voldaan aan de ingangstoets en aan de eisen en indicatoren zoals opgenomen in de bijlage. Iedere kandidaat ECZA levert de gegevens aan die nodig zijn om te bepalen of het kandidaat ECZA aan de eisen van de ingangstoets en de beoordelingscriteria voldoet. 	<ul style="list-style-type: none"> Uiterlijk 1 april. Uiterlijk aanleveren gegevens 15 mei.

⁷ <https://www.nfu.nl/themas/zorg-op-de-juiste-plek/zeldzame-aandoeningen>

2	Compleetheidstoets	De secretaris van het beoordelingscomité controleert of de aanvraag van de instelling compleet is ingediend. De instelling krijgt, indien nodig, de gelegenheid om de aanvraag aan te vullen. Er wordt in deze stap nog geen inhoudelijke beoordeling gedaan.	Afhankelijk van de aanvraag. Maximaal 2 weken om aanvraag aan te vullen.
3	Uitbrengen adviezen door referenten en patiëntenorganisaties	Per kandidaat ECZA wordt door het beoordelingscomité aan medisch specialisten gevraagd als referent op te treden en vanuit hun expertise te beoordelen of aan de eisen en indicatoren, opgenomen in de bijlage, wordt voldaan. Per kandidaat ECZA wordt door het beoordelingscomité aan patiëntenorganisaties gevraagd om op basis van ervaring met de kandidaat ECZA een advies uit te brengen.	
4	Ingangstoets	Het beoordelingscomité toetst per kandidaat ECZA of de aanvraag voldoet aan de eisen zoals opgenomen in deze beleidsvisie onder het kopje "Ingangstoets".	
5	Materiële toets	Het beoordelingscomité neemt de uitgebrachte adviezen door de referenten en patiëntenorganisatie(s) in overweging en stelt een voorgenomen advies op, op basis van eigen expertise en deskundigheid, waarbij getoetst wordt of de kandidaat ECZA voldoet aan de eisen en indicatoren, opgenomen in de bijlage bij deze beleidsvisie.	
6	Het Beoordelingscomité stelt een voorgenomen advies op	De voorzitter van het beoordelingscomité stuurt het voorgenomen advies aan de medisch specialist die inhoudelijk verantwoordelijk is voor de aanvraag van de erkenning en aan de betrokken patiëntenorganisaties.	Uiterlijk 15 september.
7	Zienswijzeprocedure	De kandidaat ECZA en de betrokken patiëntenorganisaties krijgt de mogelijkheid om, bij voorkeur schriftelijk, te reageren op het voorgenomen advies van het beoordelingscomité. Ook patiëntenorganisaties kunnen tijdens deze procedure hun zienswijze geven bij het voorgenomen advies.	Uiterlijk 15 oktober.
8	Vaststellen en toesturen van definitieve adviezen	Het beoordelingscomité neemt de reactie van de kandidaat ECZA en de patiëntenorganisatie in overweging en stelt het definitieve advies vast. De voorzitter van het beoordelingscomité stuurt het advies aan de minister.	Uiterlijk 15 november.
9	Besluitvorming erkenningen	De minister neemt een besluit op de aanvraag en stuurt dat besluit naar de instelling.	Uiterlijk 15 december.
10	Bijwerken overzicht erkenningen	Indien de aanvraag wordt gehonoreerd, verzoekt de minister de NFU om het overzicht van ECZA's aan te passen na het verstrijken van de termijn voor bezwaar en beroep. De minister publiceert een lijst met erkende centra op de website van Rijksoverheid.	Uiterlijk 31 maart.

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, dat ter beschikking wordt gesteld op de website van het ministerie van VWS. De inhoudelijke gegevens die de aanvraag ondersteunen worden door de aanvrager bij voorkeur aangeleverd in het online systeem AIMS. In de aanvraag is aangegeven per kandidaat ECZA voor welke zeldzame aandoening(en) of clusters van zeldzame aandoening(en) de kandidaat ECZA erkenning aanvraagt en met welke codes deze aandoeningen vermeld staan in het classificatiesysteem

Orphanet⁸. Per kandidaat ECZA kunnen meerdere Orphanetcodes aangegeven worden. Indien van toepassing vermeldt de instelling op de aanvraag per kandidaat ECZA van welke andere instellingen het een onderdeel is. Indien sprake is van een gezamenlijke aanvraag op gelijkwaardige basis dient de raad van bestuur van alle betrokken instellingen een aanvraagformulier in te vullen en in te dienen bij de minister van VWS. Dit betreft dan een aanvraag tot erkenning van alle betrokken instellingen als ECZA. Daarnaast vermeldt de instelling op de aanvraag eventuele samenwerkingsorganisaties. De expertise van deze samenwerkingsorganisatie wordt gezien als essentieel integraal onderdeel van de kandidaat ECZA. Samenwerkingsorganisaties hebben echter niet de status van kandidaat ECZA.

Het aanvragen van een erkenning als ECZA betreft een jaarlijkse procedure. Dit betekent dat een kandidaat ECZA elk jaar de mogelijkheid heeft om een erkenningsaanvraag in te dienen. De deadline voor het aanvragen van een erkenning als ECZA is uiterlijk voor 1 april van het huidige jaar. De instelling ontvangt een ontvangstbevestiging en wordt een kandidaat ECZA. De minister stuurt de aanvraag door naar het beoordelingscomité met het verzoek te adviseren over de vraag of wordt voldaan aan de ingangstoets en aan de eisen en indicatoren zoals opgenomen in de bijlage. De kandidaat ECZA onderbouwt vervolgens de aanvraag door het indienen van (medisch-) inhoudelijke informatie en documentatie in het systeem AIMS binnen 6 weken na 1 april, de deadline voor het indienen is 15 mei.

2. Compleetheidstoets

De secretaris van het beoordelingscomité controleert of de aanvraag van de instelling compleet is. Hierbij wordt gekeken naar het ingevulde aanvraagformulier en de documenten die via het online systeem AIMS zijn aangeleverd. De aanvraag van de kandidaat ECZA is compleet als de volgende documenten zijn aangeleverd in het online systeem AIMS:

- Application form volledig ingevuld (het application form is een online formulier in AIMS)
- Aanvraagbrief ondertekend door instelling
- Zorgpad
- Lijst met (links naar) (inter)nationale richtlijnen/standaarden
- Document met betrekking tot multidisciplinair team
- Lijst met wetenschappelijke artikelen
- Document(en) met betrekking tot dataregistratie

De kandidaat ECZA krijgt een ontvangstbevestiging en krijgt, indien nodig, de gelegenheid om de aanvraag aan te vullen. Er wordt in deze stap nog geen inhoudelijke beoordeling gedaan. Aangezien het een jaarlijkse aanvraagprocedure betreft en het besluit wordt genomen na advies van het beoordelingscomité, waarbij tevens referenten en patiëntenorganisaties worden geraadpleegd, zijn de aanvraag en de daarbij behorende stukken bepalend voor het te nemen besluit. Nieuwe stukken worden later in de procedure beperkt toegelaten, namelijk alleen als deze niet opnieuw door referenten of patiëntenorganisaties beoordeeld hoeven te worden.

3. Selectie en rol referent en patiëntenorganisatie

Referent

De referent is een medisch specialist 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. Het beoordelingscomité draagt onafhankelijke referenten voor. In principe kan iedereen die vertegenwoordigd is in een multidisciplinair overleg van een kandidaat ECZA worden uitgenodigd om op te treden als referent. Een referent ontvangt digitaal de gegevens die door de instelling met betrekking tot de kandidaat ECZA zijn aangeleverd en stelt op basis van de eigen expertise een advies op voor het beoordelingscomité. Het beoordelingscomité spant zich in om bij elke aanvraag twee referenten te betrekken. Wanneer er geen referenten worden gevonden, of een referent nalaat te reageren, wordt hiervan door het beoordelingscomité melding gemaakt in het advies. Het beoordelingscomité geeft daarbij aan waarom het referentenadvies ontbreekt en hoe het beoordelingscomité tot het advies is gekomen.

De referentrapporten worden geanonimiseerd bijgevoegd aan het definitieve advies van het beoordelingscomité en aan het besluit van de minister.

⁸ <https://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php>

Patiëntenorganisatie

De patiëntenorganisatie is een organisatie met ervaringsdeskundigheid op het gebied van de zorg voor een patiënt met een zeldzame aandoening. Het betreft een organisatie van of voor patiënten, waarvan in ieder geval een deel van de patiënten deze aandoening zelf heeft. De VSOP nodigt de desbetreffende patiëntenorganisaties uit voor deelname aan de adviesprocedure. De patiëntenorganisatie ontvangt digitaal enkele gegevens met betrekking tot de kandidaat ECZA, voor zover die nodig zijn ten behoeve van het opstellen van het advies door de patiëntenorganisatie. De patiëntenorganisatie stelt, desgewenst met ondersteuning vanuit de VSOP, een advies op waarin de ervaring van patiënten centraal staat. Indien de desbetreffende patiënten (nog) niet als rechtspersoon of patiëntenorganisatie zijn georganiseerd, kunnen zij zich laten vertegenwoordigen door een andere patiëntenorganisatie. Ook kan de VSOP haar achterban raadplegen als er geen patiëntenorganisatie voor de betreffende aandoening kan worden gevonden. Wanneer er geen patiëntenorganisatie wordt gevonden, of een patiëntenorganisatie nalaat te reageren, wordt hiervan door het beoordelingscomité melding gemaakt in het advies. Het beoordelingscomité geeft daarbij aan waarom het patiëntenorganisatie advies ontbreekt en hoe het beoordelingscomité tot het advies is gekomen.

4. Ingangstoets

In deze stap wordt getoetst of aan de volgende eisen is voldaan door de 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;
- De kandidaat ECZA stelt integrale expertise te hebben voor een zeldzame aandoening. Een interventie of specifieke behandeling (zoals bijvoorbeeld robotchirurgie) wordt niet als een zeldzame aandoening aangemerkt. Hetzelfde geldt voor expertise voor een aandoening die slechts in een bepaalde leeftijdscategorie of levensfase (bijvoorbeeld op kinderleeftijd of tijdens een zwangerschap) zelden voorkomt;
- Het betreft één 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);
- De kandidaat ECZA heeft ten minste één zeldzame aandoening opgenomen dat minimaal het niveau van een ERN subthema betreft.⁹
- 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 negatief advies van het beoordelingscomité. Voor de laatste twee eisen geldt een uitzondering indien er op het moment de aanvraag van erkenning voor het betreffende expertisegeried geen subthema bestaat voor de betreffende ziektebeelden binnen een bestaand ERN of wanneer er nog geen ERN voor dit expertisegeried bestaat.

5. Materiële toets

In deze stap wordt getoetst of een kandidaat ECZA voldoet aan de eisen en indicatoren zoals beschreven in de bijlage, behorende bij deze beleidsvisie. Er wordt een aanvullende toelichting op deze eisen en indicatoren op de website van de NFU gepubliceerd.

6. Het beoordelingscomité stelt een voorgenomen advies op

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 de 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 de 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).

⁹ Een ERN subthema betreft een (cluster van) zeldzame aandoening(en). Per ERN subthema is door de Orphanet NL coordinator een vertaalslag gemaakt naar de best passende ORPHA-code(s) indien deze niet door het ERN zelf zijn aangegeven.

De voorzitter van het beoordelingscomité stuurt het voorgenomen advies aan de medisch specialist die inhoudelijk verantwoordelijk is voor de aanvraag van de erkenning en naar de betrokken patiëntenorganisatie.

7. Zienswijzeprocedure

De kandidaat ECZA krijgt de mogelijkheid om, bij voorkeur schriftelijk, te reageren op het voorgenomen advies van het beoordelingscomité. Ook patiëntenorganisaties kunnen tijdens deze procedure hun zienswijze geven op het voorgenomen advies.

Het beoordelingscomité weegt de (schriftelijke) reactie van de kandidaat ECZA en de patiëntenorganisatie mee bij het vaststellen van het definitieve advies aan de minister. De reactie van de kandidaat ECZA dient zich te richten op informatie die nodig is ter onderbouwing van de ingediende aanvraag. Hierbij kan bijvoorbeeld worden gedacht aan:

- Het signaleren van een feitelijke onjuistheid in het voorgenomen advies van het beoordelingscomité;
- Het toelichten van een verschil van interpretatie met het beoordelingscomité van bestaande stukken uit de aanvraag;
- Het aanleveren van ontbrekende informatie of een ontbrekend stuk, bijvoorbeeld een toelichting of aanvulling op een eerder ingediend stuk.

Tijdens de zienswijzeperiode kunnen referenten en patiëntenorganisaties niet opnieuw worden geraadpleegd. Als het voor een beoordeling van nieuwe informatie die tijdens de zienswijzeprocedure wordt aangeleverd nodig is om opnieuw referenten en patiëntenorganisaties te raadplegen, zal het beoordelingscomité een negatief advies uitbrengen, waarna de aanvraag in beginsel zal worden afgewezen. Er kan dan een nieuwe aanvraag worden ingediend in het volgende jaar.

8. 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 of de eisen uit de beleidsvisie.

5. Verplichtingen voor een ECZA

Een ECZA neemt indien mogelijk deel aan een ERN en coördineert indien nodig grensoverschrijdende gezondheidszorg met aangewezen ECZA's in andere EU-landen. Een ECZA kan bijvoorbeeld via een ERN advies over specifieke patiënten vragen aan expertisecentra in andere lidstaten. 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.

6. 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 het ECZA of de instelling waarvan het ECZA deel uitmaakt:

- de erkenning vrijwillig opgeeft;
- niet langer voldoet aan de eisen en indicatoren 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; of
- 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 het 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.

7. Inwerkingtreding en bekendmaking

De beleidsvisie treedt in werking met ingang van 1 april 2025. De beleidsvisie wordt in de Staatscourant geplaatst.

Deze beleidsvisie is niet van toepassing op besluiten die zijn genomen voor het tijdstip van inwerkingtreding van deze beleidsvisie. Dit geldt ook voor besluiten die zijn genomen voor het tijdstip van inwerkingtreding van deze beleidsvisie en die, bijvoorbeeld naar aanleiding van een bezwaar- en beroepsprocedure, op een later moment worden herzien.

De Minister van Volksgezondheid,

Welzijn en Sport,

M. Agema

BIJLAGE UITWERKING INDICATOREN PER EIS VOOR TOETSING ECZA

Om een erkenning als ECZA te krijgen, moet de kandidaat ECZA aan de eisen uit deze Bijlage voldoen, naast de eisen en/of verplichtingen waaraan een kandidaat ECZA moet voldoen in het kader van andere wet- en regelgeving. Eisen en criteria uit het Gedelegeerd besluit waar de instelling al aan moet voldoen in het kader van nationale wet- en regelgeving, zijn niet opgenomen in deze bijlage.

Dit document heeft als doel om per eis de indicatoren toe te lichten die gebruikt worden bij de toetsing door de beoordelingscommissie. 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. De volgende punten worden hierbij per eis besproken:

- Beschrijving van de eis;
- Welke indicatoren indiceren dat aan de eis wordt voldaan;
- Welke indicatoren in ieder geval aanwezig moeten zijn om aan te kunnen nemen dat aan de eis wordt voldaan¹⁰;
- Welke contra-indicatoren indiceren dat niet aan de eis wordt voldaan.

In het aanvullend document op de website van de NFU¹¹ worden de eisen en indicatoren die in deze beleidsvisie staan nader toegelicht.

Eisen met betrekking tot de kwaliteit en continuïteit van zorg:	
Eis 1:	De kandidaat ECZA is in staat tot het leveren van kwalitatief hooggespecialiseerde complexe patiëntenzorg op het gebied van diagnostiek, behandeling, nazorg en follow-up voor de zeldzame aandoening waarvoor de erkenning als ECZA wordt aangevraagd.
<i>Indicatoren:</i>	Indien een kandidaat ECZA op het moment van de aanvraag geen erkenning heeft als ECZA en er al één of meerdere ECZA actief zijn voor eenzelfde zeldzame aandoening, of een cluster van aandoeningen waar deze specifieke aandoening onder valt, dan dient de kandidaat ECZA aan te tonen dat deze meerwaarde heeft ten opzichte van de reeds erkende ECZA.
	De kandidaat ECZA adviseert en behandelt voldoende patiënten om een bijdrage te kunnen leveren aan het verder ontwikkelen van kennis over de zeldzame aandoening en het verbeteren van de behandeling van een zeldzame aandoening. De kandidaat ECZA moet bij een relevant percentage van het aantal bekende patiënten met de zeldzame aandoening waarvoor de erkenning als ECZA wordt aangevraagd in Nederland betrokken zijn in het zorgtraject (voor zover deze informatie voorhanden is). Wat een relevant percentage is, wordt door het kandidaat ECZA onderbouwd met gegevensbronnen en dataregistraties uit Nederland en uit de ERNs.
	De kandidaat ECZA voldoet voor de diagnostiek en behandeling van patiënten met de zeldzame aandoening waarvoor de erkenning als ECZA wordt aangevraagd in ieder geval aan de normenkaders die hiervoor gelden, nationaal, zoals de SONCOS-normen en de IGI-normen en indien beschikbaar aan de ERN-volumenormen.
	<i>Van de toepassing van de indicatoren 1 t/m 3 kan in beginsel niet worden afgeweken.</i>
Eis 2:	De kandidaat ECZA levert inbreng bij de ontwikkeling van richtlijnen.
<i>Indicatoren:</i>	De kandidaat ECZA heeft bijgedragen aan de ontwikkeling van een richtlijn(en), nationaal danwel internationaal.
	De kandidaat ECZA werkt mee aan de verspreiding van richtlijnen, waar mogelijk samen met vertegenwoordigers van betrokken patiëntenorganisaties.
	<i>Van de toepassing van de indicatoren 1 en 2 kan in beginsel niet worden afgeweken.</i>
Eis 3:	De kandidaat ECZA levert en coördineert het zorgaanbod voor de zeldzame aandoening waarvoor erkenning als ECZA wordt aangevraagd binnen de gehele keten van het zorgpad.
<i>Indicatoren:</i>	Het <u>zorgpad</u> bestaat uit een schematische weergave en een toelichting op hoe het diagnostische traject is vormgegeven, welke poliklinische controles, waaronder het Multidisciplinair team (MDO-team), klinische of poliklinische interventies en diagnostische procedures bij de verschillende disciplines standaard of op indicatie ingepland worden en hoe de eventuele behandeling en follow up vormgegeven is. Zowel logistiek (proces) als medisch inhoudelijk.
	In het zorgpad is opgenomen op welke manier de samenhang in de zorg voor de zeldzame aandoening waarvoor erkenning als ECZA wordt aangevraagd is geborgd via bijvoorbeeld de hoofdbehandelaar of casemanager.

¹⁰ Van indicatoren waarbij niet is vermeld dat daarvan niet kan worden afgeweken, is gemotiveerde afwijking dus mogelijk.

¹¹ <https://www.nfu.nl/themas/zorg-op-de-juiste-plek/zeldzame-aandoeningen>

	In het zorgpad is opgenomen welke disciplines er plaatsnemen in het Multidisciplinair team (MD-team), waarbij de rollen van de verschillende behandelaars zijn beschreven, hoe vaak het Multidisciplinair vergadert, hoe de resultaten van het Multidisciplinair overleg worden vastgelegd en gecommuniceerd naar de hoofdbehandelaar en casemanager.
	In het zorgpad is opgenomen dat de kandidaat ECZA zorgt voor de borging van de continuïteit van zorg gedurende de hele levensloop, van kinderjaren via adolescentie tot en met de volwassen leeftijd en geeft aan hoe de overgang van de kindzorg naar de volwassenzorg is georganiseerd in het zorgpad (transitiezorg).
	De kandidaat ECZA heeft een patiënten versie van het zorgpad beschikbaar voor patiënten.
	In het zorgpad is opgenomen of en hoe 24/7 bereikbaarheid voor de zeldzame aandoening waarvoor erkenning als ECZA wordt aangevraagd is georganiseerd voor patiënten en hun naasten.
	In het zorgpad is opgenomen hoe en wanneer een patiënten-casus in het Multidisciplinair overleg (MDO) van een ERN besproken zal worden.
	De kandidaat ECZA heeft een procedure ingericht voor de behandeling van patiënten die niet in Nederland verzekerd zijn.
	<i>Van de toepassing van de indicatoren 1 t/m 4 kan in beginsel niet worden afgeweken.</i>
Eis 4:	De kandidaat ECZA beschikt over een systematiek om de kwaliteit van zorg van de zeldzame aandoening waarvoor de erkenning als ECZA wordt aangevraagd te waarborgen.
<i>Indicator:</i>	De kandidaat ECZA beschikt over nationale en/of internationale kwaliteitsindicatoren die gebruikelijk zijn voor de zeldzame aandoening waarvoor erkenning als ECZA wordt aangevraagd en toetst hierop.
	Eisen met betrekking tot wetenschappelijk onderzoek:
Eis 5:	De kandidaat ECZA draagt door middel van een leidende rol in (basaal) wetenschappelijk onderzoek bij aan verdere kennisontwikkeling over het ontstaan en de behandeling van de zeldzame aandoening waarvoor erkenning als ECZA wordt aangevraagd en publiceert hierover.
<i>Indicatoren:</i>	Van de kandidaat ECZA blijkt de leidende rol uit de wetenschappelijke artikelen over de zeldzame aandoening waarvoor erkenning als ECZA wordt aangevraagd en die in de afgelopen 10 jaar in een peer reviewed journal zijn gepubliceerd. Minimaal één van de eerste drie of laatste twee auteurs van de wetenschappelijke artikelen zijn geaffilieerd aan de kandidaat ECZA.
	De kandidaat ECZA is in staat om onderzoek subsidies te genereren relevant voor de zeldzame aandoening waarvoor erkenning als kandidaat ECZA wordt aangevraagd.
	De kandidaat ECZA is in staat om een bijdrage te leveren aan nationale en/of internationale dataregistratie.
	<i>Van de toepassing van de indicatoren 1 kan in beginsel niet worden afgeweken.</i>
	Eisen met betrekking tot opleiding en kennisoverdracht:
Eis 6:	De kandidaat ECZA draagt zorg voor de opleiding en overdracht van kennis van de zeldzame aandoening waarvoor de erkenning als ECZA wordt aangevraagd naar de leden van het MD-team.
<i>Indicatoren:</i>	De kandidaat ECZA zorgt ervoor dat de expertise en expertiseontwikkeling met betrekking tot de zeldzame aandoening waarvoor erkenning als ECZA wordt aangevraagd voor in ieder geval de komende vijf jaar is geborgd. In dit verband geeft het kandidaat ECZA in de aanvraag aan op welke manier de opleiding van de leden van het vaststaand Multidisciplinair team (MD-team) in de verschillende disciplines is vormgegeven.
	De kandidaat ECZA borgt de opvolging van leden van het vaststaand MD-team met zeer specialistische kennis en expertise met betrekking tot de zeldzame aandoening waarvoor de erkenning als ECZA wordt aangevraagd.
	Minstens twee medisch specialisten, of er wordt een tweede medisch specialist opgeleid, in het vaststaand Multidisciplinair team) MD-team beschikken over zeer specialistische kennis en expertise met betrekking tot de zeldzame aandoening waarvoor erkenning als ECZA wordt aangevraagd.
	De kandidaat ECZA spant zich in om permanente medische scholing te ontwikkelen en te geven aan zorgprofessionals en studenten die betrokken zijn bij de zeldzame aandoening waarvoor erkenning als ECZA wordt aangevraagd.
	<i>Van de toepassing van de indicatoren 1,2 en 3 kan niet worden afgeweken.</i>
	Eisen met betrekking tot samenwerking met andere partijen:
Eis 7:	De kandidaat ECZA werkt met patiënten samen om de kwaliteit van zorg met betrekking tot de zeldzame aandoening waarvoor erkenning als ECZA wordt aangevraagd te verbeteren.
<i>Indicatoren:</i>	De kandidaat ECZA betreft de patiënt proactief om de kwaliteit van zorg te verbeteren en geeft aan hoe de inbreng van de patiënt wordt benut.
	Indien er een patiëntenorganisatie aanwezig is, laat de kandidaat ECZA zien dat het samenwerkt met de patiëntenorganisatie om de kwaliteit van zorg te verbeteren, door inzicht te geven in hoe de inbreng van de patiëntenorganisatie wordt benut en door regelmatig contact te hebben met de patiëntenorganisatie.
	<i>Van de toepassing van indicator 2 kan niet worden afgeweken.</i>
Eis 8:	De kandidaat ECZA werkt nationaal en internationaal in een netwerk samen op het gebied van de zeldzame aandoening waarvoor de erkenning als kandidaat ECZA wordt aangevraagd.
<i>Indicatoren:</i>	De kandidaat ECZA werkt in een netwerk samen op het gebied van onderzoek en/of patiëntenzorg met betrekking tot de zeldzame aandoening waarvoor erkenning als kandidaat ECZA wordt aangevraagd.
	Eisen met betrekking tot informatie en communicatie:

Eis 9:	De kandidaat ECZA fungeert als informatieloket en vraagbaak voor zorgverleners, patiënten en hun naasten.
Indicatoren:	De kandidaat ECZA is beschikbaar voor consultatie en wordt benaderd door andere instellingen bij verdenking op en behandeling van de zeldzame aandoening waarvoor erkenning als ECZA wordt aangevraagd. Het betreft consultatie voor patiënten die (nog) niet onder behandeling zijn bij de kandidaat ECZA.
	De kandidaat ECZA draagt bij aan voorlichting voor patiënten en hun naasten over de zeldzame aandoening waarvoor erkenning als ECZA wordt aangevraagd.
	<i>Van de toepassing van de indicatoren 1, 2 kan niet worden afgeweken</i>