

# Manifest

Patiëntorganisaties die betrokken zijn bij de processen rondom de introductie van gen- en celtherapie in de reguliere zorg bundelen hun krachten in het Patiëntenplatform Gen- en Celtherapie. Wij vergroten onze invloed in de besluitvorming door te profiteren van elkaars ervaring en gezamenlijk op te trekken in de belangenbehartiging. Op deze manier willen we de toegang van patiënten tot gen- en celtherapie in de reguliere zorg in Nederland versnellen en verbeteren.

## Achtergrond

Behandelingen met gen- en celtherapie doen hun intrede in de reguliere patiëntenzorg. De EMA heeft de afgelopen jaren 13 producten goedgekeurd. De horizonscan van Zorginstituut Nederland voorspelt een nog groter aantal markttoelatingen voor de komende 2-3 jaar. Veel van deze producten zijn gamechangers: ze maken van chronische, ernstig invaliderende of levensbedreigende ziekten, aandoeningen die te genezen zijn of waarvan de progressie fors wordt vertraagd. Bij markttoelating door de EMA is het wetenschappelijk bewijs voor de effectiviteit echter nog beperkt en de kosten zijn meestal zeer hoog. Introductie in de zorg gaat daarom met veel vertraging gepaard.

Betrokkenheid van patiënten(organisaties) bij de introductie van deze nieuwe behandelingen is essentieel. Patiënten brengen unieke ervaringsdeskundigheid in en hebben (vaak onderschatte) inhoudelijke kennis. En patiëntbetrokkenheid vergroot daarnaast het draagvlak voor de besluiten. De ervaring van patiëntenorganisaties is dat de urgentie sectorbreed door alle partijen onderschreven wordt, maar desondanks laat concrete actie voortdurend op zich wachten. Daarnaast is iedereen het er over eens dat patiënteninbreng van grote meerwaarde kan zijn, maar in de praktijk is deze meestal onvoldoende, te laat en te beperkt. Ze is er wel bij individuele producten maar te weinig in het opstellen van algemeen beleid. Daarom is besloten de handen ineen te slaan en het Patiëntenplatform Gen- en Celtherapie op te richten

## Dit gaat het patiëntenplatform gen- en celtherapie doen:

Vanuit het patiëntenperspectief leggen wij accenten via de 4 A's van:

- **Assessment (beoordeling):**  
denk aan vroege dialoog over effectiviteit, bijwerkingen en kwaliteit van leven
- **Accessibility (toegankelijkheid):**  
denk aan concentratie in een beperkt aantal ziekenhuizen, zodat kennis en kunde gericht kunnen worden opgebouwd.
- **Affordability (betaalbaarheid):**  
denk aan prijs- en bekostigingsbeleid zonder onnodige drempels
- **Availability (beschikbaarheid):**  
denk aan tijdige levering of mogelijkheid behandeling in het buitenland

Om een goede bijdrage te leveren zorgt het platform voor:

- Verzamelen en delen van kennis, onderling en met andere veldpartijen.
- Grotere betrokkenheid van patiëntenorganisaties bij beleidsvorming.
- Bespoedigen vergoedingsdiscussies van individuele producten door vroege dialoog over totale pijn, gepast gebruik: adequate diagnostiek, juiste patiënten, start – en stop criteria, expertcentra.
- Stimuleren van de monitoring van inzet en resultaten in de dagelijkse praktijk via (inter)nationale dataverzameling.
- Meer internationale verbinding.

Voor informatie/contact kunt u mailen naar [gen-en-celtherapie@patientenfederatie.nl](mailto:gen-en-celtherapie@patientenfederatie.nl)