

Activiteitenverslag RARE-NL 2025

2025 was het eerste volledige jaar van RARE-NL als nationale hub voor therapieontwikkeling voor zeldzame ziekten en drug repurposing.

We hebben in 2025 op verschillende manieren ondersteuning gegeven aan behandelaren, onderzoekers, patiëntenvereniging en andere belanghebbenden. Er zijn 25 korte vragen beantwoord en 4 projectadviezen opgesteld. Het gaat om uiteenlopende onderwerpen: van het opzetten van platformstudies voor zeldzame aandoeningen tot vragen over vergoedingsaanvragen, repurposingtrajecten en de voorbereiding op registratiedossiers. Daarnaast zijn er een tiental casus geëvalueerd voor een langdurige samenwerking, waarbij we sinds 2025 deelnemen in de maatschappelijk verantwoorde Pepper Therapeutics BV en er zijn twee andere samenwerkingsovereenkomsten heeft afgesloten.

Wat we leren uit casuïstiek vertalen we door naar systeemniveau. Dat doen we onder andere via het FAST-Forum, onze eigen website, podcasts, wetenschappelijke artikelen, congressen zoals de Dutch Medicines Days en het FAST-event, columns, internationale initiatieven zoals REPO4EU en REMEDI4ALL, bijdrages aan en helpen organiseren van de Venture Challenge, presentaties binnen UMC's, zoals voor TTOs en Legal. Er is elk kwartaal een RARE-NL meeting georganiseerd, waar er kennis is uitgewisseld over lopende projecten binnen de UMCs en andere relevante thema's. Daarnaast is er in drie UMCs die nog niet zijn aangesloten en bijeenkomst georganiseerd over therapieontwikkeling in het betreffende UMC en de rol die RARE-NL daarin kan spelen. Er zijn colleges gegeven door verschillende docenten uit het RARE-NL netwerk, waarbij er uitwisseling tussen de UMCs plaatsvond. Op LinkedIn is het aantal volgers en de interactie flink gegroeid (van 97 naar 414).

Stichting RARE-NL heeft in 2025 verder geprofessionaliseerd en heeft een complete Raad van Toezicht. Er is gezocht naar verschillende financieringsbronnen. Voor dit doeleinde zijn er zes subsidieaanvragen (mede-)ingediend, waarvan er tot nu toe een is afgewezen. Uit deze aanvragen kan uiteindelijk ook RARE-NL gefinancierd worden, zodat de stichting ook qua governance en werkwijze klaar is voor opschaling in 2026.