

Lijst van onbeantwoorde medische behoeften 2024	Prioriteitsindicator
Nieuw gediagnosticeerde glioblastoom	11,40
Amyotrofe Lateraal Sclerose (ALS)	11,34
Acute graft versus hostziekte (aGVHZ)	11,25
Recidiverend glioblastoom	10,58
Zure sfingomyelinasedeficiëntie	10,54
Metachromatische leukodystrofie	10,40
Neuronale ceroidlipofuscinose type 2	10,40
Amyloïde lichte keten (AL) amyloïdose	10,14
Duchenne spierdystrofie	10,02
≥2e lijnsbehandeling van HER2-positief vergevorderde maagkanker of gastro-oesofageale junctie kanker na progressie op trastuzumab	9,96
Cholestase ten gevolge van Biliaire Atresie (BA)	9,93
Vroegtijdig en selectieve wondverzorging diepe brandwonden bij kinderen	9,86
Lokaal gevorderd of gemetastaseerd plaveiselcel anaal carcinoom na progressie op of intolerantie voor platinum- gebaseerde chemotherapie	9,84
Voorbehandeld Epstein barr virus positief post-transplantatie lymfoproliferatieve ziekte (EBV-PTLD)	9,50
≥3e lijnsbehandeling van HER2-positief gemetastaseerde borstkanker (HER2+ mBC) na falen op trastuzumab emtansine (T-DM1)	9,37
Vergevorderd gedifferentieerd liposarcoom	9,35
Fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP)	9,28
HR +, HER2 - borstkanker (stadium IV) met een PIK3CA mutatie	9,2
Chronische graft versus hostziekte (cGVHZ)	9,2
Niet-reseceerbaar of gemetastaseerd lokaal gevorderd adenocarcinoom van de maag of de gastro-oesofageale overgang die richtbare biomarkers tot expressie brengt	9,15
MET-gedreven niet-resecteerbaar en lokaal gevorderd of gemetastaseerd papillaire niercelcarcinoom	9,09
Alfa-Mannosidose	9,06
Neurofibromatose type 1 (NF1)	8,94
Recidiverend of refractair (R/R) folliculair lymfoom (FL) dat ten minste twee eerdere systemische therapieën heeft ondergaan (3L+)	8,83
Gemetastaseerde niet-kleincellige longkanker die reeds met immunotherapie behandeld werd (2L+)	8,8
Progressieve supranucleaire paralyse (PSP)	8,8
Kleincellige longkanker (Small Cell Lung Cancer)	8,8
De ziekte van Huntington	8,78
Neuromyelitis optica spectrum disorder (NMOSD)	8,75
Non-GCB diffuus grootcellig B-cel lymfoom	8,74
Systemische sclerodermie en interstitiële longziekte (longfibrose)	8,60
Osteogenesis imperfecta	8,52
Pneumonie bij geïntubeerde en mechanisch geventileerde patiënten	8,51
Transfusie afhankelijke β-Thalassemie	8,5
Alagille Syndroom (ALGS) met pruritus en/of cholestase	8,48
Eerstelijnsbehandeling van gemetastaseerde urotheliale blaaskanker	8,37
Niet-kleincellige longkanker	8,32
Transplantatieontvangers met CMV-infectie of -ziekte, waaronder refractaire/resistente (R/R) CMV	8,28
PIK3CA-gerelateerd overgroeisyndroom (PROS)	8,23
Gemetastaseerd colorectaal carcinoom	8,03
Gevorderd plaveiselcelcarcinoom (aCSCC)	8,0
Gevorderde systemische Mastocytose (ASM)	8,0
C3-Glomerulopathie (C3G)	7,83
Sikkelcelziekte	7,8
Onvoldoende gecontroleerd carcinoïdsyndroom	7,77
Focale segmentale glomerulosclerose	7,73
Lysosomale zure lipase deficiëntie	7,62
Endogeen syndroom van Cushing	7,6

Gemetastaseerde borstkanker (mBC) met lage expressie van de HER2 receptor (HER2-low), na het falen van minimaal 1 eerdere lijn chemotherapie	7,58
Lupus nephritis	7,52
Gegeneraliseerde pustuleuze psoriasis (psoriasis pustulosa generalisata)	7,52
Gevorderd niercelcarcinoom (RCC) L2	7,33
Respiratoir syncytieel virus (RSV) infecties bij kinderen.	7,28
Sporadic inclusion-body myositis (sIBM)	7,22
Myelofibrose	7,18
Familiaal chylomicronemiesyndroom	7,12
Anti-neutrofiel cytoplasmatische auto-antilichamen (ANCA) geassocieerde vasculitis (AAV)	6,98
Trombotische trombocytopenische purpura	6,87
Alzheimer	6,78
Adjuvante behandeling bij patiënten met gBRCAm, hoog-risico HER2-negatieve borstkanker in een vroeg stadium (TNM I-III)	6,72
Reuseltumor van de weke delen	6,57
Hartfalen met behouden ejectiefractie (HFpEF)	6,52
IgA Nefropathie	6,48
Respiratoir syncytieel virus	6,45
Eosinofiele oesofagitis	6,43
Emergency treatment of known or suspected opioid overdose	6,18
Primaire Biliaire Cholangitis (PBC) met cholestase onvoldoende gecontroleerd of intolerant voor Ursodeoxycholzuur (UDCA)	6,10