

Lijst van onbeantwoorde medische behoeften 2025	Prioriteitsindicator
Nieuw gediagnosticeerde glioblastoom	11,40
Amyotrofe Lateraal Sclerose (ALS)	11,34
Recidiverend glioblastoom	10,58
Neuronale ceroidlipofuscinose type 2	10,40
Duchenne spierdystrofie	10,02
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
Aplastische anemie	9,57
Vergevorderd gedifferentieerd liposarcoom	9,35
Fibrodysplasia ossificans progressiva (FOP)	9,28
HR +, HER2 borstkanker (stadium IV) met een PIK3CA mutatie	9,2
β-thalassemie major (transfusie afhankelijke β-Thalassemie)	9,10
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
Progressieve supranucleaire paralyse (PSP)	8,8
Kleincellige bronchiale kanker	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	8,6
Osteogenesis imperfecta	8,52
Pneumonie bij geïntubeerde en mechanisch geventileerde patiënten	8,51
Alagille Syndroom (ALGS) met pruritus en/of cholestase	8,48
PIK3CA-gerelateerd overgroeisyndroom (PROS)	8,23
Mantelcellymfoom (MCL)	8,07
Gevorderde systemische Mastocytose (ASM)	8,0
Ziekte van Von-Hippel-Lindau (VHL)	7,90
C3-Glomerulopathie (C3G)	7,83
Sikkelcelziekte	7,8
Focale segmentale glomerulosclerose	7,73
Lysosomale zure lipase deficiëntie	7,62
Endogeen syndroom van Cushing	7,6
Lupus nephritis	7,52
Gegeneraliseerde pustuleuze psoriasis	7,52
Sporadic inclusion-body myositis (sIBM)	7,22
Myelofibrose	7,18
Anti-neutrofiel cytoplasmatische auto-antilichamen (ANCA) geassocieerde vasculitis (AAV)	6,98
Trombotische trombocytopenische purpura	6,87
Reseceleerbare maag-/gastro-oesofageale junctiekanker	6,87
Alzheimer	6,78
Transfusionele ijzerstapeling bij congenitale hemolytische anemie	6,73
Spierinvasieve blaaskanker	6,70
Congenitaal varicella syndroom	6,67
Reusceltumor van de weke delen	6,57
IgA Nefropathie	6,48
Eosinofiele oesofagitis	6,43
Secundaire trombotische microangiopathie	6,43
Chronische inflammatoire demyeliniserende polyneuropathie (CIDP)	6,40
Mastcelactiveringssyndromen (MAS)	6,30
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
Ziekte van Vaquez/essentiële trombocytemie	5,67
Tardieve dyskinesie	4,83
Epilepsie bij kinderen	4,43
Geografische atrofie (GA) secundair aan leeftijdsgebonden maculadegeneratie (AMD; age-related macular degeneration)	4,37

