

28 FEBRUARY
2019



RARE DISEASE DAY.ORG

#RareDiseaseDay

28 februari 2019

Speciale editie

pharma.be, de vereniging van de innovatieve farmaceutische industrie, steunt de Internationale Dag van de Zeldzame Ziekten. Klik hier om het voorwoord van Catherine Rutten te lezen



Wat is een zeldzame ziekte?

Wetenschappelijk gezien zijn zeldzame ziekten een van de meest complexe gezondheidsproblemen van onze tijd. Een zeldzame ziekte treft maximaal 5 op 10.000 mensen.

[Lees meer](#)



Het weesgeneesmiddel, een speciaal geneesmiddel

Weesgeneesmiddelen zijn geneesmiddelen voor menselijk gebruik die bedoeld zijn voor de behandeling van ernstige en zeldzame ziekten. De status van weesgeneesmiddel wordt op Europees niveau toegekend.

[Lees meer](#)

7 nieuwe weesgeneesmiddelen beschikbaar voor patiënten in België in 2018

Naast de nieuwe geneesmiddelen die vorig jaar werden goedgekeurd, lopen er in België ongeveer 100 klinische studies om patiënten met zeldzame ziekten te helpen.

[Lees meer](#)



Werken aan een snellere toegang voor de patiënt

Sinds 1 januari 2019 is de werking van de Colleges voor weesgeneesmiddelen gewijzigd om een snellere toegang voor de patiënt te realiseren.

[Lees meer](#)



21 nieuwe weesgeneesmiddelen werden in 2018 door het EMA (Europees Geneesmiddelenbureau) goedgekeurd

Van de 84 positieve adviezen die het EMA vorig jaar uitbracht voor de goedkeuring van nieuwe geneesmiddelen, hebben er 21 betrekking op weesgeneesmiddelen.

[Lees meer](#)

Media

pharma.be meets

LARA BLOOM
International Executive Director,
Ehlers-Danlos Society



Het syndroom van Ehlers-Danlos is een erfelijke genetische ziekte.

[Lees hier de getuigenis van Lara Bloom. Zij heeft het over de centrale plaats van de patiënt.](#)



Filip heeft achondroplasie. Een zeldzame genetische ziekte.

[U kunt hier de getuigenis van Filip en zijn moeder bekijken.](#)

28 februari 2019

Beste lezers,

Elk jaar wordt op 28 februari de **Internationale Dag van de Zeldzame Ziekten** georganiseerd. Deze dag werd in 2008 ingesteld op initiatief van patiënten om de aandacht te vestigen op deze zeldzame aandoeningen die minder dan 5 op 10.000 personen treffen. Vandaag brengt deze gebeurtenis miljoenen mensen over de hele wereld samen, onder de slogan "Show your rare. Show you care". pharma.be, de vereniging van de innovatieve farmaceutische industrie, steunt deze actiedag.

Er gebeurt heel wat onderzoek in de Belgische (bio)farmaceutische sector naar nieuwe therapieën voor deze ziekten. Naast de nieuwe geneesmiddelen die vorig jaar werden goedgekeurd, loopt er in België een honderdtal klinische studies naar nieuwe behandelingen. Meer dan een kwart van alle klinische studies die in ons land lopen richten zich op zeldzame ziekten(1) tegenover een gemiddelde van 1/5 in andere Europese landen (2).

Toch stellen we vast dat het aantal weesgeneesmiddelen dat voor terugbetaling wordt goedgekeurd in België vorig jaar is gedaald (7 in 2018 tegenover 12 in 2017). Om patiënten zo snel mogelijk te helpen, pleit pharma.be voor een tweede plan voor zeldzame ziekten, na raadpleging van het management comité van het voor Fonds Zeldzame Ziekten en Weesgeneesmiddelen dat binnen de Koning Boudewijnstichting werd opgericht.

In deze nieuwsbrief kunt u meer te weten komen over zeldzame aandoeningen. Ik nodig u ook uit om te luisteren naar de getuigenissen van Filip met achondroplasie en Lara Bloom, die ons vertelt over het belang van de diagnose en een luisterend oor voor de patiënt.

Veel leesplezier.



Catherine Rutten
CEO pharma.be

(1) Bron: Monitor Deloitte analyses based on EU Clinical Trials Register data (2017).

(2) Het gemiddelde van de Europese groep referentielanden zoals o.m Frankrijk en Nederland bedraagt 20,6%, en 27,1% voor België.

Wat is een zeldzame ziekte?

Wetenschappelijk gezien zijn zeldzame ziekten een van de meest complexe gezondheidsproblemen van onze tijd. Een zeldzame ziekte is, volgens de definitie van de Europese Unie, een ziekte die het leven bedreigt of een progressieve achteruitgang van fysieke of cognitieve functies veroorzaakt en die niet meer dan 5 op 10.000 personen treft.

Toch wordt 6 tot 8% van de bevolking getroffen door een of meer van deze ziekten, wat overeenkomt met 30 miljoen mensen in Europa en tussen de 60.000 en 100.000 mensen in België. Deze paradox wordt verklaard door het feit dat, hoewel er weinig patiënten per ziekte zijn, er tussen de 6.000 en 8.000 zeldzame ziekten bestaan, waarvan de meeste van genetische oorsprong zijn.

ZELDZAME ZIEKTEN EN WEESGENEESMIDDELEN ZELDZAAM, MAAR MET GROTE IMPACT



De lage prevalentie van deze ziekten maakt de diagnose en behandeling ervan uiterst moeilijk. Er bestaan vaak geen geneesmiddelen om de patiënt te behandelen. Daarom waren er specifieke acties nodig om tegemoet te komen aan de belangrijke medische behoeften van de patiënten, zowel wat betreft hun overlevingskansen als hun levenskwaliteit, om een betere patiëntenzorg mogelijk te maken.

Met het oog op de uitdaging die zeldzame ziekten voor de volksgezondheid vormen, voert de EU sinds 2000 een specifiek beleid om onderzoek en ontwikkeling (O&O) van weesgeneesmiddelen aan te moedigen. Farmaceutisch onderzoek heeft daaropvolgend een grote sprong voorwaarts gemaakt: in 2018, waren er 149 weesgeneesmiddelen geregistreerd in Europa (1).

(1) Bron: European Medicines Agency (EMA)

Het weesgeneesmiddel, een speciaal geneesmiddel

Weesgeneesmiddelen zijn geneesmiddelen voor menselijk gebruik bestemd voor de behandeling van ernstige en zeldzame ziekten. Een geneesmiddel wordt aangeduid als "weesgeneesmiddel" als het wordt gebruikt om een levensbedreigende of ernstig invaliderende ziekte te behandelen die niet meer dan 5 op de 10.000 mensen in de Europese Unie treft.

Het statuut "weesgeneesmiddel" wordt op Europees niveau door de Europese Commissie toegekend. De wetenschappelijke beoordeling van de aanvragen tot aanduiding als weesgeneesmiddel gebeurt door het Comité voor weesgeneesmiddelen (COMP), dat onder toezicht staat van het Europees Geneesmiddelenbureau (European Medicines Agency - EMA).

Voor weesgeneesmiddelen geldt een specifieke vergunningsprocedure. Om de ontwikkeling van geneesmiddelen voor zeldzame ziekten te bevorderen, krijgen farmaceutische firma's een aantal stimulansen, zoals de commerciële exclusiviteit van tien jaar voor deze geneesmiddelen na verwerving van de vergunning voor het in de handel brengen.

Het statuut van "weesgeneesmiddel" verloopt ofwel tien jaar na verlening van de eerste vergunning voor het in de handel brengen, ofwel op verzoek van de firma zelf.

Bepaalde oudere geneesmiddelen, die vergund werden vóór de inwerkingtreding van de Europese Verordening, kregen het statuut van "weesgeneesmiddel" van de Belgische bevoegde overheidsdienst, vandaag het FAGG. Hiervoor gelden dezelfde regels als die voor de Europese weesgeneesmiddelen.

Bron: Het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG)

[Klik hier](#) om de pharma.be brochure over weesgeneesmiddelen en zeldzame ziekten te lezen

28 februari 2019 - internationale dag van de zeldzame ziekten

7 nieuwe weesgeneesmiddelen beschikbaar voor patiënten in België in 2018

Zeldzame ziekten treffen minder dan vijf op 10.000 mensen. Volgens de definitie van de Europese Unie is een zeldzame ziekte ene ziekte die levensbedreigend is of leidt tot chronische invaliditeit. Wetenschappers schatten dat er ongeveer 6000 à 8000 zeldzame aandoeningen zijn. Deze komen in 75 procent van de gevallen voor bij kinderen.

Elk jaar wordt op 28 februari de Internationale Dag van de Zeldzame Ziekten georganiseerd om meer aandacht te vragen voor deze diverse groep van aandoeningen. pharma.be, de vereniging van de innovatieve farmaceutische industrie, steunt deze actiedag.

Catherine Rutten, CEO van pharma.be: *"In 2018 werden zeven nieuwe weesgeneesmiddelen voor patiënten met zeldzame ziekten beschikbaar in ons land. In het totaal worden er in België 88 weesgeneesmiddelen terugbetaald. Om patiënten zo snel mogelijk te helpen, moeten we er alles aan doen om het wetenschappelijk onderzoek te ondersteunen. Daarom pleit pharma.be voor een tweede plan voor zeldzame ziekten."*

Kristel De Gauquier, Medische directeur bij pharma.be: *"De Belgische (bio)farmaceutische sector is zeer actief in het onderzoek naar nieuwe behandelingen tegen zeldzame ziekten. In België richt een kwart van alle klinische studies voor de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen zich op zeldzame aandoeningen [1]. Dat percentage ligt een stuk hoger dan het Europese gemiddelde [2]".*

[1] Monitor Deloitte analyses based on EU Clinical Trials Register data

[2] Het gemiddelde van de Europese groep referentielanden zoals o.m Frankrijk en Nederland bedraagt 20,6%, en 27,1% voor België.

Werken aan een snellere toegang voor de patiënt

Om de beschikbaarheid van weesgeneesmiddelen voor patiënten te vergemakkelijken en te versnellen, is de Belgische wetgeving recentelijk gewijzigd. Het Koninklijk Besluit van 08/07/2004 betreffende de vergoeding van weesgeneesmiddelen en geneesmiddelen voor zeldzame ziekten is aangepast op basis van het Koninklijk Besluit van 6 december 2018. Sinds 1 januari 2019 is de werking van de colleges die de individuele aanvragen voor terugbetaling van een weesgeneesmiddel behandelen gewijzigd.

De belangrijkste wijzigingen betreffen onder meer:

- **De termijnen:** de maximumtermijn voor het onderzoek van een individuele aanvraag is nu vastgesteld op 30 werkdagen.
- **Zichtbaarheid:** elk document dat wordt opgemaakt door het betrokken college van artsen, zoals bv. de richtlijnen over de inhoud nodig voor een individuele vraag tot terug betaling, zal op de website van het Riziv beschikbaar worden gesteld. Daardoor is de kans groter dat het aanvraagdossier van bij aanvang volledig is.
- **Goedkeuringen:** de adviserende arts van het ziekenfonds zal na de tweede verlenging niet langer verplicht zijn om het college te raadplegen, behalve wanneer hij oordeelt dat dit noodzakelijk is.

Om verder te bouwen op deze positieve ontwikkelingen, pleit pharma.be voor een tweede plan voor zeldzame ziekten (na raadpleging van het management comité van het Fonds voor Zeldzame Ziekten en Weesgeneesmiddelen dat binnen de Koning Boudewijnstichting werd opgericht).

Zo zou bij de evaluatie van deze geneesmiddelen rekening kunnen gehouden worden met:

- De zeldzaamheid van de ziekte en de gevolgen daarvan voor de verzameling en evaluatie van wetenschappelijk bewijs,
- De ernst van de ziekte en de gevolgen daarvan voor de patiënten en hun omgeving,
- De beperkte beschikbaarheid van doeltreffende alternatieven.

Het EMA-rapport: "human medicines highlights 2018"

Het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA) heeft zijn verslag over 2018 gepubliceerd: "Human medicines highlights 2018". Het bevat kerncijfers over de aanbevelingen van het EMA voor de toelating van nieuwe geneesmiddelen in 2018. We lezen hierin dat 84 positieve adviezen uitgebracht werden voor het in de handel brengen van nieuwe geneesmiddelen (of nieuwe indicaties). Van die adviezen hebben er 21 betrekking op weesgeneesmiddelen.

De therapeutische gebieden zijn divers

De therapeutische gebieden van de 21 betrokken weesgeneesmiddelen zijn de volgende:

- Hematologie: 6 geneesmiddelen
- Kanker: 5 geneesmiddelen
- Neurologie: 3 geneesmiddelen
- Endocrinologie: 3 geneesmiddelen
- Pneumologie/allergologie: 2 geneesmiddelen
- Oogheelkunde: 1 geneesmiddel
- Metabolisme: 1 geneesmiddel

[Lees hier het volledige verslag van het EMA.](#)