



Sinds 10 jaar neemt Europa maatregelen om de belangstelling voor en de research naar zeldzame ziekten aan te wakkeren. In België is er vooruitgang, maar het kan nog een stuk beter.

Te duur en te ontoegankelijk

Geneesmiddelen ter behandeling van patiënten met een zeldzame ziekte worden "weesgeneesmiddelen" genoemd. Zeldzame ziekten – waar per definitie weinig mensen aan lijden – worden vaak verwaarloosd door de farma-industrie: die heeft er geen financieel belang bij om te investeren in onderzoek en ontwikkeling.

Een nieuw geneesmiddel uitkiezen duurt – van de ontdekking van de werkzame stof tot het medicijn op de markt komt – gemiddeld tien jaar. En het resultaat is niet altijd overtuigend: naar schatting heeft slechts één op tien geteste moleculen een therapeutisch effect.

Research stimuleren

Toch moeten ook patiënten met een zeldzame ziekte kunnen profiteren van de vooruitgang van de wetenschap.

Net als de Verenigde Staten (Or-

phan Drug Act, 1983), Japan (1993) en Australië (1998) werkte Europa (in 2000) voor al zijn lidstaten een beleid voor weesgeneesmiddelen uit.

Om farmaceutische bedrijven aan te moedigen aan onderzoek en ontwikkeling te doen rond zeldzame ziekten, kent de overheid voordelen toe. Een firma die een weesgeneesmiddel op de markt brengt, geniet behalve financiële en wetenschappelijke steun ook 10 jaar marktexclusiviteit in Europa.

De Europese bepaling vraagt elke lidstaat om tegen 2011 een nationaal plan op te stellen m.b.t. zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen. Bij ons werd het Fonds Zeldzame Ziekten en Weesgeneesmiddelen belast met het implementeren van concrete maatregelen die de levenskwaliteit van de betrokken patiënten en hun entourage moeten verbeteren. Dat

Wereldwijd werden al bijna 7 000 verschillende zeldzame ziekten ontdekt

betekent onder meer: het medisch korps en het grote publiek beter informeren zodat men de diagnose sneller kan stellen en men sneller een behandeling kan opstarten; patiënten(verenigingen) betrekken bij het denkproces; de uitwisseling van informatie over zeldzame ziekten verbeteren en stroomlijnen op nationaal en Europees vlak.

Het traject van een geneesmiddel

Een geneesmiddel een weesstatuut toekennen en de verkoop ervan toelaten, is de taak van het Europees Geneesmiddelenbureau. Gezien het geringe aantal patiënten is het begrijpelijk dat men weinig studies kan verrichten om de efficiëntie en de veiligheid van de behandeling grondig te bestuderen. Men beschikt dan ook over erg weinig gegevens omtrent de dosering, de indicaties, de bijwerkingen enz.



Nadien zijn de verkoop- en terugbetalingsvoorwaarden van het middel een zaak van elke lidstaat. Resultaat: de toegankelijkheid van de behandeling verschilt sterk van land tot land. Diverse studies hebben dat aan het licht gebracht: de prijs verschilt (impact van de belastingen en van de distributiecircuit), de patiënt krijgt niet evenveel terugbetaald enz.

Sneller beschikbaar

Een Belgische patiënt kan een weesgeneesmiddel dat nog niet op de markt is (of de grondstoffen die nodig zijn om het magistraal te laten bereiden) via het ziekenhuis kopen in het buitenland. In

Slechts 10 tot 20 % van de patiënten met een zeldzame ziekte krijgt een aangepaste behandeling

dat geval moet hij wel de volle pot betalen, omdat de terugbetaling in België nog niet is geregeld.

Om de patiënt sneller toegang te geven tot nieuwe geneesmiddelen, voorziet de wet dat het medicijn aan de zieke mag worden verstrekt nog vóór de verkoop ervan toegelaten is: dat heet *compassionate use*. De patiënt krijgt het geneesmiddel dan gratis tot het op de markt komt. Ook door deel te nemen aan klinische studies kan men een weesgeneesmiddel gratis verkrijgen.

Buitensporig duur

Het probleem is dat weesgeneesmiddelen doorgaans erg duur zijn! Ter verantwoording van de hoge prijzen schermen de farmaceutische bedrijven met het argument dat weesgeneesmiddelen niet rendabel genoeg zijn: ondanks de Europese en nationale overheidssteun vinden ze dat ze hun kosten gezien het geringe aantal patiënten niet kunnen recupereren indien de prijs niet hoog genoeg ligt.

Maar dat argument houdt op geen enkele manier rekening met de prijs van de grondstof. Noch met de hoeveelheid research die vereist was. En evenmin met het feit of het makkelijk dan wel moeilijk was om het middel te produceren. Het klopt dat sommige weesgeneesmiddelen echte innovaties zijn. Maar soms gaat het ook om oude moleculen waarvan de ontwikkeling minder duur uitvalt.

Een voorbeeld: een weesgeneesmiddel dat wordt gebruikt ter behandeling van acute promyelocytenleukemie (APL). Één ampul (10 ml) kost € 396 terwijl er minder dan € 1 nodig is om de grondstof voor de inhoud van de ampul (arseentrioxide) te produceren! De hoge prijs kan in dit geval ook niet te wijten zijn aan dure research, want de eigenschappen van arsenicum zijn al geruime tijd bekend. Reeds in 1996 verschenen er in de literatuur gegevens over het effect ervan op tumoren.

EEN WOORDJE UITLEG

Zeldzame ziekte

Dit is een aandoening waaraan weinig mensen lijden. Volgens de officiële Europese definitie treft een zeldzame ziekte minder dan 5 mensen op 10 000. Veel zeldzame ziekten zijn ernstig. Vaak veroorzaken ze een ernstige handicap of zijn ze dodelijk. Bv. de ziekte van Fabry (50 à 70 patiënten in België), mucoviscidose, ziekte van Crohn, het fragiele-X-syndroom, epidermolysis bullosa enz.

Weesgeneesmiddel

Dit is bestemd voor de diagnose, de preventie of de behandeling van een zeldzame ziekte. De farmaceutische industrie ontwikkelt het vaak niet wegens niet rendabel genoeg.

CIJFERS VOOR BELGIË

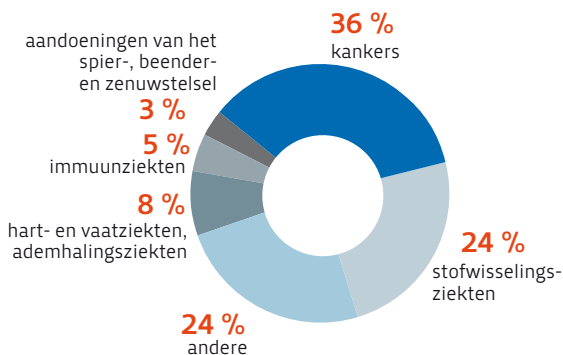
HOEVEEL MIDDELEN EN WELKE TYPES ZIJN ERKEND?

In ons land zijn er momenteel 62 erkende weesgeneesmiddelen geregistreerd voor 54 zeldzame aandoeningen. 40 van deze medicijnen worden reeds volledig terugbetaald mits een attest van een adviserende geneesheer. De andere worden niet terugbetaald, hetzij omdat de aanvraag nog loopt, hetzij omdat het farmaceutische bedrijf geen aanvraag heeft ingediend. De farmaceutische bedrijven zijn namelijk niet verplicht om de terugbetaling aan te vragen voor het product dat ze te koop aanbieden!

VOOR WELKE ZIEKTEN?

Eind april 2010 waren de meeste weesgeneesmiddelen die op de Europese markt mogen worden verkocht, bestemd voor de behandeling van zeldzame kankers.

Bron: EMA



Rendabel en nuttig?

In de meeste gevallen worden de behandelingen betaald door de sociale zekerheid. Gelukkig voor de patiënt trouwens: afhankelijk van de ziekte lopen de kosten van weesgeneesmiddelen op van € 6 000 tot € 300 000 per jaar.

En dus duikt de vraag op hoe rendabel het medicijn werkelijk is. Want soms groeien dergelijke exorbitant dure geneesmiddelen uit tot commerciële successen. Imatinib (Glivec) bijvoorbeeld, waarvan één enkele capsule (400 mg) meer dan € 85 kost.

In een tijd waarin de sociale zekerheid moet besparen, zou men de prijzen die de farma-industrie aanreken van nabij moeten onderzoeken en moeten nagaan hoe rendabel een geneesmiddel op den duur werkelijk is.

Bovendien moet men zich durven afvragen of het geneesmiddel ook echt efficiënt is. Het Franse tijdschrift *Prescrire* onderzocht het nut van diverse weesgeneesmiddelen. In bijna 30 % van de gevallen (19 van de 64 onderzochte indicaties) bleken ze nutteloos of leverden ze niets nieuws op.

Tekort aan informatie

Patiënten met een zeldzame ziekte hebben nog andere problemen: snel een correcte diagnose

PEPERDURE BEHANDELINGEN

TERUGBETALING LAAT SOMS OP ZICH WACHTEN

In principe worden weesgeneesmiddelen volledig terugbetaald. Maar in de praktijk blijkt dat minder vanzelfsprekend.

De firma's vragen de terugbetaling niet altijd aan

Eerst moet het geneesmiddel worden erkend als weesgeneesmiddel en moet de firma de toelating krijgen om het op de markt te brengen. Dat is de bevoegdheid van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Vervolgens moet de firma in elk land bij de minister van Sociale Zaken (in België bij de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen) een aanvraag indienen om het middel terugbetaald te krijgen. De beslissing daarover valt binnen de 180 dagen na het indienen van de aanvraag.

Wat moet de patiënt doen?

Om terugbetaling te krijgen, moet de patiënt zich wenden tot zijn behandelende arts. Die moet, op het moment dat hij een weesgeneesmiddel voorschrijft, het akkoord vragen van de adviserende geneesheer. Die kan op zijn beurt advies inwinnen bij een College van Geneesheren voor Weesgeneesmiddelen. Wordt het geneesmiddel nog niet terugbetaald, dan kan de patiënt aankloppen bij het Bijzonder Solidariteitsfonds dat financiële steun biedt bij gezondheidszorg die niet door het Riziv wordt terugbetaald.

te horen krijgen is de eerste grote moeilijkheid. Vaak stuit de zieke op een arts die onvoldoende geïnformeerd is. De beschikbare wetenschappelijke kennis vertoont lacunes en er zijn te weinig behandelingen.

In België zijn er 25 door het Riziv erkende referentiecentra voor zeldzame ziekten. Deze multidisciplinaire centra staan in voor de diagnose en de behandeling van een specifieke aandoening: mucoviscidose, erfelijke metabole aandoeningen, refractaire epilepsie en neuromusculaire aandoeningen. Er zijn echter meerdere centra die zich bezighouden met dezelfde ziekten (bv. vier centra voor refractaire epilepsie). En het uitwisselen van informatie blijkt niet altijd van

MEER WETEN

Orphanet
databank rond zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen
www.orpha.net

Fonds Zeldzame Ziekten
www.weesziekten.be

Trefpunt Zelfhulp
informatie over zelfhulpgroepen
www.zelfhulp.be

Radiorg
(Rare Disease Organisation Belgium)
overkoepelt 80 Belgische verenigingen van patiënten
www.radiorg.be

Eurordis
(European Organisation for Rare Diseases) groep van Europese verenigingen van patiënten en mensen die zich bezighouden met zeldzame ziekten
www.eurordis.org

De kosten van weesgeneesmiddelen kunnen per patiënt oplopen tot € 300 000 per jaar

een leien dakje te lopen. Nochtans is het in het belang van de patiënt om de expertise zoveel mogelijk te bundelen. Maar momenteel verplicht niets of niemand deze centra om samen te werken.

Op het vlak van informatie spelen de patiëntenverenigingen dan ook een cruciale rol. ♥

Ann Lievens en Geneviève Starquit

WIJ EISEN

Efficiënte en minder dure behandelingen

- Uitbreiding van de medische kennis aan de hand van vorming van artsen. De artsen moeten ook worden aangemoedigd patiënten snel door te verwijzen.
- Een nationaal referentiecentrum dat patiënten doorstuurt naar gespecialiseerde centra, hun inlichtingen verstrekt over de ziekte, de behandelingen en de interventies alsook patiënten zonder diagnose opvangt. De epidemiologische gegevens moeten worden verzameld en de nationale registers up-to-date gehouden.
- Voor de patiënten die lijden aan een zeldzame ziekte eisen wij een gezondheidssysteem dat rekening houdt met hun specifieke noden én de oprichting van een netwerk dat ziekten zonder diagnose of behandeling opvangt.
- De terugbetaling moet sneller gebeuren door de firma's te verplichten om die in alle lidstaten tegelijk aan te vragen.
- De prijs van de geneesmiddelen moet dalen: die mag niet enkel afhangen van de frequentie van de ziekte maar ook van de kosten van de grondstoffen en van de vraag hoe moeilijk het was om het geneesmiddel te ontwikkelen en te produceren. De manier waarop de firma's de prijs bepalen en de rentabiliteit beoordelen moet transparanter. En voor een geneesmiddel dat rendabel is, moet de Europese marktexclusiviteit worden teruggebracht tot zes jaar.