



**#WIJ
GEVEN
NIET
OP**

**Tot zeldzame
ziekten nog
zeldzamer
worden**

#WIJ GEVEN NIET OP

2

Wat is een zeldzame ziekte? ^{1,10}



1 op 2.000 inwoners
van de E.U.



Levens-
bedreigend

of



Chronisch
invaliderend



Meer dan 6.000
zeldzame ziekten
geïdentificeerd



Veroorzaakt door
een **genetische**
afwijking bij **7**
op **10** patiënten



75% van zeldzame
ziekten treft
kinderen



Zonder vroegtijdige
medische zorg, **sterft**
1 op 3 patiënten voor
het 5^e levensjaar



Een groot aantal
zeldzame ziekten
zijn nog volledig
onbekend voor
de wetenschap



Er zijn **amper gegevens**
beschikbaar over de
oorzaken, het verloop
en de behandelings- en
genezingsmogelijkheden

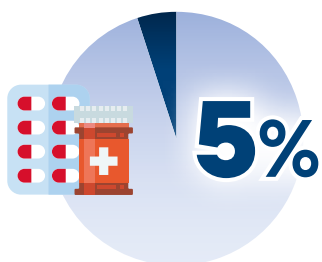
Een hoge medische nood



Ongeveer **500.000** Belgen

lijden aan een zeldzame ziekte¹, bijvoorbeeld²:

Spina bifida • Mucoviscidose • Ziekte van Huntington
Neurofibromatose type I • Amyotrofe laterale sclerose (ALS)
Spierdystrofie van Duchenne • Fenylketonurie • ...



van de zeldzame ziekten worden met een geregistreerd geneesmiddel behandeld²



van de medische noodprogramma's en programma's voor gebruik in schrijnende gevallen* hebben betrekking op weesgeneesmiddelen

Maar een uitdaging voor innovatieve ondernemingen^{11, 12, 13}

Een weesgeneesmiddel is een farmaceutische specialiteit voor de behandeling, diagnose of preventie van een zeldzame ziekte.



Productie is vaak **complex** en **tijdrovend**



Het **beperkte aantal patiënten** vormt een grote uitdaging voor klinisch onderzoek



Vaak **kleine ondernemingen** met een beperkte portfolio en een **gelimiteerde doelgroep** van patiënten



Een specifiek regelgevend kader is noodzakelijk

#WIJ GEVEN NIET OP

Het weesgeneesmiddelenbeleid werkt



De Europese verordening stimuleert het onderzoek, de ontwikkeling en het in de handel brengen van weesgeneesmiddelen³:

- Toekenning van het weesgeneesmiddelenstatuut
- Protocolondersteuning tijdens productontwikkeling
- Verlaagde/vrijgestelde bijdragen
- Extra steunmaatregelen voor KMO's
- 10 jaar marktexclusiviteit (verhoogd tot 12 jaar voor pediatrische geneesmiddelen)

In België werden bijkomende stimulerende maatregelen genomen om Belgische patiënten toegang te geven tot weesgeneesmiddelen:

- Verlaagde geneesmiddelentaks met de mogelijkheid om het weesgeneesmiddelstatuut te verlengen
- Vrijstelling van de subsidiaire heffing ("claw back")
- Duidelijk regelgevend kader voor medische noodprogramma's en programma's voor gebruik in schrijnende gevallen

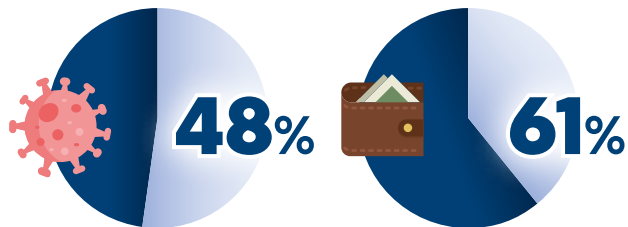
België heeft in 2014 **een nationaal plan voor zeldzame ziekten** opgesteld, net zoals 20 andere Europese landen.⁷

De verordening werpt haar vruchten af



Toename van geregistreeerde
weesgeneesmiddelen
bij het EMA⁴

(EMA = Europees Geneesmiddelenagentschap)



zijn geregistreerd
in het domein van
de oncologie

worden
momenteel
terugbetaald
in België



Toename
van klinische studies
naar zeldzame ziekten⁵



Behoud van bestaande maatregelen is essentieel

De Europese verordening en de Belgische stimuli hebben er de afgelopen 20 jaar voor gezorgd dat de beschikbaarheid van weesgeneesmiddelen voor vele patiënten erop vooruit is gegaan.

#WIJ GEVEN NIET OP

6

Belgisch Plan voor Zeldzame Ziekten 1.0: een eerste stap¹⁴

1.0

Het Belgisch Plan voor Zeldzame Ziekten heeft samen met de Europese verordening de afgelopen 20 jaar gezorgd voor een **grote vooruitgang in de diagnose en de beschikbaarheid van behandelingen** voor vele patiënten.

Dat werd ook mogelijk gemaakt dankzij overleg en **samenwerking tussen de verschillende actoren** in de sector:

- Patiënten
- Zorgpersoneel
- De overheid
- Farmaceutische bedrijven

Het eerste Belgische Plan (gepubliceerd in december 2013) voor Zeldzame Ziekten definieerde **20 actiepunten** in **vier domeinen**:



Verbeterde toegang tot diagnostiek en informatie



Optimalisatie van de zorg



Kennis- en informatiebeheer

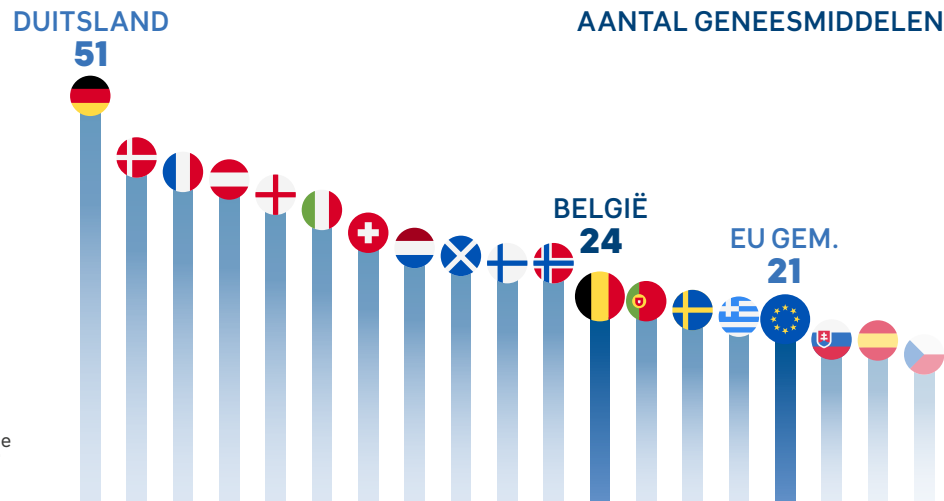


Governance en duurzaamheid

Dit plan mag echter geen eindpunt zijn. Permanente evaluatie en opvolging van de implementatie van de verschillende acties, samen met alle stakeholders, tonen aan dat er nog meer mogelijk is als we deze activiteiten verderzetten en onze geleverde inspanningen intensifiëren.

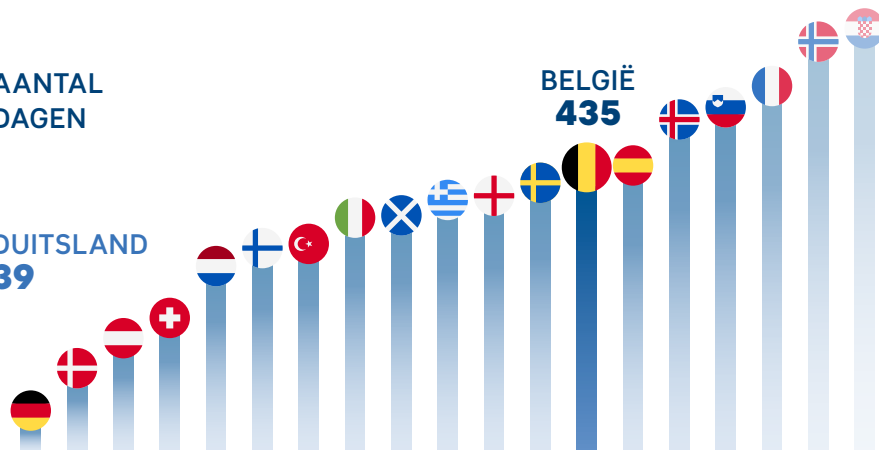
België scoort slechts middelmatig voor toegankelijkheid. Dat kan beter.

Van de 54 wees-geneesmiddelen die tussen 2015 en 2018 door het EMA werden goedgekeurd, werden er eind 2018 slechts 24 (44%) terugbetaald in België. Daarmee staat België op de 12^e plaats in Europa⁸.



AANTAL DAGEN

DUITSLAND
39

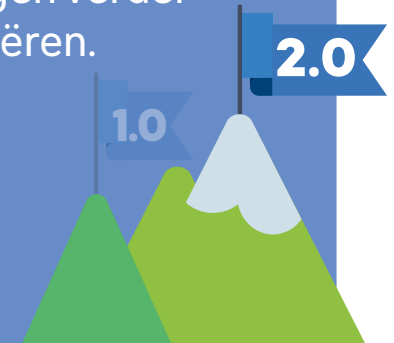


De gemiddelde termijn tussen de marktvergunning en de toegang voor patiënten bedroeg 435 dagen of 1 jaar en 2 maanden voor België. Hiermee staat België op de 13^e plaats in Europa.⁸



Een Belgisch Plan voor Zeldzame Ziekten 2.0 is noodzakelijk

7 jaar na het eerste plan dringt een nieuw Belgisch Plan voor Zeldzame Ziekten zich op om de acties verder te zetten en de geleverde inspanningen verder te intensifiëren.



2.0

Een snelle toegang tot wees-genees-middelen verzekeren

- **Horizonscanning en een vroegtijdige dialoog met bedrijven** gebruiken om te anticiperen op de komst van nieuwe weesgeneesmiddelen
- **Verplicht hergebruik van de Europese beoordeling** van de relatieve therapeutische waarde in België (indien beschikbaar)
- **Onmiddellijke maar tijdelijke terugbetaling** van weesgeneesmiddelen met de mogelijkheid om gezondheidsgegevens te verzamelen
- **Snelle goedkeuring van individuele terugbetalingsaanvragen** voor weesgeneesmiddelen, voorgelegd aan een College van Artsen via een elektronisch goedkeuringsysteem

8

Huidige situatie



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE · MEDICINES · HEALTH
210 dagen
Marktvergunningsprocedure

Beslissing marktvergunning


FOD Economie + RIZIV
180 dagen CTG
Terugbetalingsprocedure

Beslissing prijs en terugbetaling

120 dagen
WG contract



Gewenste situatie

Voor innovatieve geneesmiddelen



Onmiddellijke maar tijdelijke terugbetaling


EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE · MEDICINES · HEALTH
150 tot 210 dagen
Marktvergunnings-procedure



Tot 360 dagen sneller

Gelijktijdig 180 dagen CTG
+ 120 dagen WG Contract

Streven naar een hergebruik van Europese beoordelingen in de Belgische terugbetalingsprocedure

Vandaag

De Europese beoordeling van de kwaliteit, de werkzaamheid en de veiligheid van het geneesmiddel wordt gebruikt in de Belgische terugbetalingsprocedure



Morgen

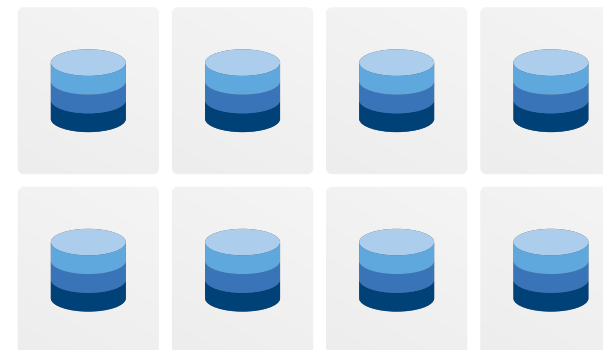
De beoordeling van de relatieve therapeutische waarde zou ook op Europees niveau moeten gebeuren, wat toelaat dubbel werk in de CTG te vermijden



2.0

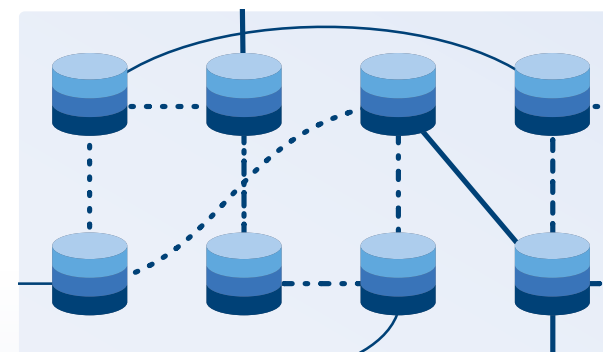
Een ecosysteem van gezondheidsgegevens ontwikkelen

Nu:
geïsoleerde
publieke
databanken



- ✓ Uniek loket
- ✓ 1 contactpunt
- ✓ Snelle feedback
- ✓ Gestandaardiseerd protocol

Morgen:
databanken
koppelen



10



Onderzoekers
publieke
instellingen



Buitenlandse
onderzoekers in
samenwerking
met Belgische
onderzoekers



Overheid



Artsen



Onderzoekers
bedrijven

- F** indable = vindbaar
- A** ccessible = toegankelijk
- I** nteroperable = uitwisselbaar
- R** eusable = herbruikbaar

Streven naar gecentraliseerde, complete en internationaal gekoppelde registers

2.0

Optimale testing voor diagnose en opvolging van zeldzame ziekten

- **De neonatale screening** uitbreiden en optimaliseren
- **Hiaten** in de terugbetaling van diagnostische testen **identificeren** en zorgen voor **voldoende financiering** in alle regio's



2.0

Optimale behandeling en opvolging van patiënten

- **Ziektespecifieke patiëntenverenigingen** betrekken bij de **beoordeling van nieuwe weesgeneesmiddelen** door het RIZIV
- **Beter communiceren** over **beschikbare "roadmaps"** voor patiënten en nieuwe "roadmaps" ontwikkelen
- **De expertise** voor complexe zeldzame ziekten **centraliseren en consolideren**
- **Een duidelijk, constructief en toekomstbestendig regelgevend kader** voor **Patient Support Programma's** uitwerken



Voorstellen van pharma.be om zeldzame ziekten nog zeldzamer te maken:

2.0

1. www.radiorg.be;
2. Global Genes, Rare diseases: Facts and Statistics, <https://globalgenes.org/rare-diseasesfacts-statistics/>;
3. <https://tinyurl.com/pharmabe03>;
4. EMA = Europees Geneesmiddelenagentschap, <https://tinyurl.com/pharmabe04>;
5. Evaluating the Orphan Regulation and its impact on patients and rare disease R&D in the European Union. http://www.pugatch-consilium.com/reports/Benchmarking_success.pdf;
6. https://ec.europa.eu/health/ern/networks_en;
7. Rodwell C and Ayme S. Biochimica et Biophysica Acta 1852. 2015;2329–35;
8. WAIT Indicator 2019, <https://www.efpia.eu/media/554526/patients-wait-indicator-2019.pdf>;
9. Sciansano. <https://tinyurl.com/pharmabe09NL>;
10. <https://www.eurordis.org>;
11. <https://tinyurl.com/pharmabe11>;
12. H. Dowden & all, Nat. Rev. Drug Discov. 18, 495–496; 2019;
13. Rollet et al. Orphanet Journal of Rare Diseases 2013, 8:109;
14. <https://www.college-genetics.be/pdf/BelgischPlanZeldzameZiekten.pdf>

Behoud van de Europese verordening en Belgische stimulansen



De Europese verordening en de Belgische uitzonderingsmaatregelen en stimulansen voor weesgeneesmiddelen behouden

Een Belgisch Plan 2.0 ontwikkelen



Een snelle toegang tot weesgeneesmiddelen verzekeren

- **Horizonscanning** en een vroegtijdige dialoog met bedrijven gebruiken om om te anticiperen op de komst van nieuwe weesgeneesmiddelen
- **Verplicht hergebruik van de Europese beoordeling** van de relatieve therapeutische waarde in België (indien beschikbaar)
- **Onmiddellijke maar tijdelijke terugbetaling** van weesgeneesmiddelen met de mogelijkheid om gezondheidsgegevens te verzamelen
- **Snelle goedkeuring van individuele terugbetalingsaanvragen** voor weesgeneesmiddelen, voorgelegd aan een College van Artsen via een elektronisch goedkeuringssysteem



Een ecosysteem van gezondheidsgegevens ontwikkelen



Optimale testing voor diagnose van zeldzame ziekten

- De neonatale screening uitbreiden en optimaliseren
- **Hiaten** in de terugbetaling van diagnostische testen **identificeren** en zorgen voor **voldoende financiering in alle regio's**



Optimale behandeling en opvolging van patiënten

- **Ziektespecifieke patiëntenverenigingen** betrekken bij de **beoordeling van nieuwe weesgeneesmiddelen** door het RIZIV
- **Beter communiceren over beschikbare "roadmaps"** voor patiënten en nieuwe "roadmaps" ontwikkelen
- **De expertise** voor complexe zeldzame ziekten **centraliseren en consolideren**
- **Een duidelijk, constructief en toekomstbestendig regelgevend kader** voor **Patient Support Programma's** uitwerken

pharma.be

pharma.be, de Algemene Vereniging van de Geneesmiddelen Industrie, verenigt meer dan 130 (bio)farmaceutische bedrijven die actief zijn in België. Deze bedrijven richten zich op het onderzoek en de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen voor mens en dier, en stellen meer dan 38.000 mensen te werk in België.

Partner in gezondheid en innovatie

Als volwaardige partner van artsen, apothekers, ziekenhuizen, overheden en andere gezondheidspartners, streeft pharma.be naar de bevordering van een betere gezondheidszorg door het aanmoedigen van therapeutische innovatie in het domein van de geneesmiddelen voor humaan gebruik. Topprioriteit is dan ook dat de patiënt zo snel mogelijk kan beschikken over de nieuwste therapieën die voortkomen uit onderzoek en ontwikkeling.

pharma.be
ALGEMENE VERENIGING VAN DE GENEESMIDDELENINDUSTRIE