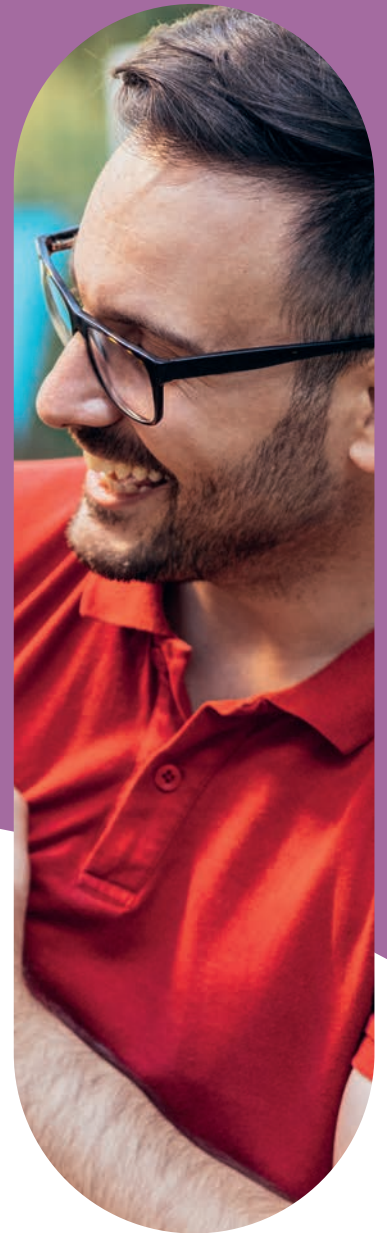


# Report to Society 2022



# Inhoud

<b>1. Wie we zijn</b>	<b>3</b>
1.1 Ten dienste van de patiënt	4
1.2 Met 128 leden	5
1.3 Als deel van een uitgebreid ecosysteem	6
1.4 Met een team van experts	7
1.5 Gedreven bestuurders	8
1.6 Gespecialiseerde partners	9
1.7 En internationaal verankerd	9
<b>2. Wat we doen</b>	<b>11</b>
2.1 Actief in de hele waardeketen	12
2.2 Onderzoek & Ontwikkeling als motor voor innovatie	13
2.2.1 Investerings in O&O in België	13
2.2.2 Investerings in O&O in vergelijking met Europa	15
2.3 Klinische studies met het oog op nieuwe behandelingen	17
2.4 Nieuw terugbetaalde geneesmiddelen voor de patiënt	19
2.4.1 Volgens type	19
2.4.2 Volgens therapeutisch domein	20
<b>3. Voor wie we meerwaarde creëren</b>	<b>21</b>
3.1 Een positieve impact voor patiënten, zorgsector en maatschappij	23
3.1.1 De meerwaarde van de nieuw terugbetaalde geneesmiddelen	23
3.1.2 Beloftevolle (r)evoluties in de biofarmaceutische sector	32
3.2 Een positieve impact op de economie	35
3.2.1 De economische waarde van de biofarmaceutische industrie	35
3.2.2 Kosten-batenanalyse voor de Belgische overheid	41
<b>4. Hoe we het aanpakken</b>	<b>43</b>
4.1 We nemen onze verantwoordelijkheid	44
4.1.1 Strikt ethisch	44
4.1.2 Met oog voor dringende noden van de patiënt	50
4.1.3 Met zorg voor leefmilieu en klimaat	51
4.1.4 Met zorg voor mens én dier	53
4.2 We werken samen in het voordeel van de patiënt	55
4.2.1 Samenwerking met patiëntenorganisaties	55
4.2.2 Samenwerking voor relevante gezondheidsgegevens	58
4.2.3 Samenwerking voor de beschikbaarheid van geneesmiddelen en vaccins	59
BIJLAGE 1 - Methodiek kosten-batenanalyse	61
BIJLAGE 2 - Afkortingen	62

# Voorwoord

De belangrijkste maatschappelijke bijdrage van de biofarmaceutische industrie is onmiskenbaar dat zij nieuwe behandelingen ontwikkelt die de gezondheid van patiënten verbeteren. Tijdens de COVID-19-pandemie ging heel wat aandacht van het gezondheidssysteem naar het bestrijden en beheersen van dit virus. Het aantal nieuw terugbetaalde geneesmiddelen viel daardoor in 2020 drastisch terug. In 2021 vond een forse inhaalbeweging plaats van de dossiers die door COVID-19 onhold werden gezet. We stellen vooral een sterke toename vast van geneesmiddelen voor zeldzame ziekten en geneesmiddelen met een therapeutische meerwaarde. Deze bieden hoop aan patiënten waarvoor tot dan nog geen afdoende behandeling beschikbaar was.

Aan het beschikbaar worden van een vaccin of een geneesmiddel voor patiënten gaat een heel traject vooraf. Ook in 2021 investeerden de bedrijven fors in onderzoek en ontwikkeling en in klinische studies. 80 % van de 574 goedgekeurde klinische studies in België in 2021 werden aangevraagd door bedrijven. De focus ligt vooral op onderzoek naar kanker. Leden van pharma.be zijn ook actief in de ontwikkeling van zogenaamde ATMP's. Dit zijn baanbrekende geneesmiddelen op basis van cel-, gen- of weefseltherapieën. Door daarop in te grijpen zou de oorzaak van een ziekte kunnen worden aangepakt en is er uitzicht op volledige genezing.

De snelle en bijna revolutionaire ontwikkelingen op het vlak van geneesmiddelenonderzoek zouden niet mogelijk zijn zonder intellectuele eigendomsrechten. Zij laten toe dat gedurende een beperkte tijd de uitvinding van het bedrijf dat het geneesmiddel heeft ontwikkeld, wordt beschermd. In ruil dient de uitvinding beschreven en gepubliceerd te worden, zodat deze kennis wel met anderen wordt gedeeld. Dit jaar publiceerde pharma.be een brochure om het belang van octrooien te duiden. De octrooien op de COVID-19 vaccins werden immers onder vuur genomen, alsof zij een snelle, wereldwijde vaccinatiecampagne in de weg zouden staan.



**Caroline Ven**  
CEO

Niets is evenwel minder waar. Zonder de bescherming van intellectuele eigendomsrechten zouden dure en onzekere onderzoeken en ontwikkelingsactiviteiten worden afgeremd of zelfs niet worden opgestart.

De biofarmaceutische sector is één van de sterkhouders van de Belgische economie die de laatste jaren heel wat extra werkgelegenheid schiep. Maar de sector staat voor heel wat uitdagingen. Met dit tweede Report to Society wil pharma.be de meerwaarde die de sector creëert voor patiënten en samenleving illustreren. En we reiken de hand naar andere actoren in het gezondheidssysteem en in het beleid om de leidende positie die ons land bekleedt op het vlak van onderzoek, ontwikkeling en productie van innovatieve geneesmiddelen te bestendigen, en om de Belgische patiënten zo snel mogelijk toegang te verlenen tot deze behandelingen.



Wie we zijn



# 1.1 Ten dienste van de patiënt

**pharma.be** is de ambassadeur van de innoverende biofarmaceutische bedrijven in België en faciliteert op een verantwoordelijke manier een gunstig bedrijfsklimaat. Doel is ervoor zorgen dat patiënten een optimale toegang tot therapeutische innovatie krijgen. Zo dragen we ook bij tot een verbetering van het gezondheidszorgsysteem van de Belgische samenleving.

## Het manifest van de biofarmaceutische industrie in België

**Je leven ten volle beleven.** Tijd doorbrengen met familie en vrienden. Genieten van een goede gezondheid. Deze behoeften hebben we allemaal. Ze bepalen de manier waarop we ons leven inrichten. Ze drijven ons in alles wat we doen, dag na dag.

Wij werken met ongeveer **42.000** mensen bij 128 bedrijven die zich richten op Onderzoek en Ontwikkeling (O&O) van innovatieve geneesmiddelen, remedies, behandelingen en vaccins.

Voor ons **staat gezondheid centraal**. We willen een zo goed mogelijk leven voor iedereen in België. Daarom is het onze missie om met gezondheidsoplossingen van België de gezondste plaats te maken. Om in op te groeien, te leven, te werken en je oude dag te beleven.

We zijn **diepgeworteld in wetenschap**. De geschiedenis toont dat de meest cruciale doorbraken in gezondheidszorg in laboratoria gebeurden. Doorbraken die de behandeling van borstkanker verbeterden, of die van hiv een behandelbare aandoening maakten.

**Maar wetenschap is een middel, geen doel op zich.** Wetenschap is onze passie, maar enkel omdat ze ons toelaat om een positieve impact te hebben op levens. **Wij zijn mensen die zorg dragen voor anderen.**

**De wereld verandert in sneltempo.** Nieuwe ziektes en virussen, vergrijzing en de steeds verdergaande digitalisering. En er zijn veel nieuwe vragen. Wetenschappelijke vooruitgang volgt zelden een rechte lijn. In onze sector falen we veel vaker dan we vooruitgang boeken. Daar kunnen we niets aan veranderen. Maar als wetenschappers in hart en nieren leggen we ons daar niet bij neer. **We geven nooit op.** Het is onze verantwoordelijkheid om te blijven streven naar de beste gezondheid voor iedereen.

**We staan er niet alleen voor.** Samen met patiënten, dokters, ziekenhuizen, mutualiteiten, apothekers, universiteiten, onderzoeksgroepen, overheden en de regering zijn we verbonden door een gemeenschappelijk doel: een zo goed mogelijke gezondheidszorg voor de Belgen.

**Samen zorgen we ervoor dat iedereen gezond kan leven.**

## 1.2 Met 128 leden

pharma.be verenigt **128 biofarmaceutische bedrijven** die actief zijn in heel België. Je vindt ze terug in elk belangrijk aspect van de biofarmaceutische waardeketen: **van O&O en klinische studies over productie tot de marktintroductie en distributie van geneesmiddelen.**

### Groep.10: stuwende kracht voor innovatie en gezondheid

Binnen pharma.be verenigt Groep.10 zowat 70 kmo's, start-ups en biotech-bedrijven. Ze zijn actief in zowel ontwikkeling, klinische studies, productie als distributie van geneesmiddelen.

Samen zijn ze goed voor:

- **10 %** van de omzet van de innovatieve biofarmaceutische industrie in België
- **4.005 jobs** in 2021
- **597** geneesmiddelen op de markt in 2021
- **193.869 €** toegevoegde waarde per werknemer in 2021

*Bron: pharma.be, op basis van IQVIA en Bel-first*

Deze kleinere biofarmabedrijven zijn extra gevoelig voor wisselende beleids- en marktomstandigheden maar zijn een stuwende kracht voor innovatie en gezondheid.

### Animal Health Group

De Animal Health Group is een andere belangrijke afdeling binnen pharma.be. Deze groep vertegenwoordigt de biofarmaceutische bedrijven in België die gespecialiseerd zijn in diergeneesmiddelen.

In dialoog met de overheid en met haar partners streeft de Animal Health Group naar een vlotte toegang tot innovatieve en kwalitatief hoogwaardige diergeneesmiddelen in België, op een duurzame manier.

De groep is volwaardig lid van HealthforAnimals en AnimalHealthEurope.

De Animal Health Group staat voor:

- **14 leden**
- **meer dan 1.500** verschillende diergeneesmiddelen
- **274** beschikbare immunologische geneesmiddelen (o.a. vaccins) in België in 2022

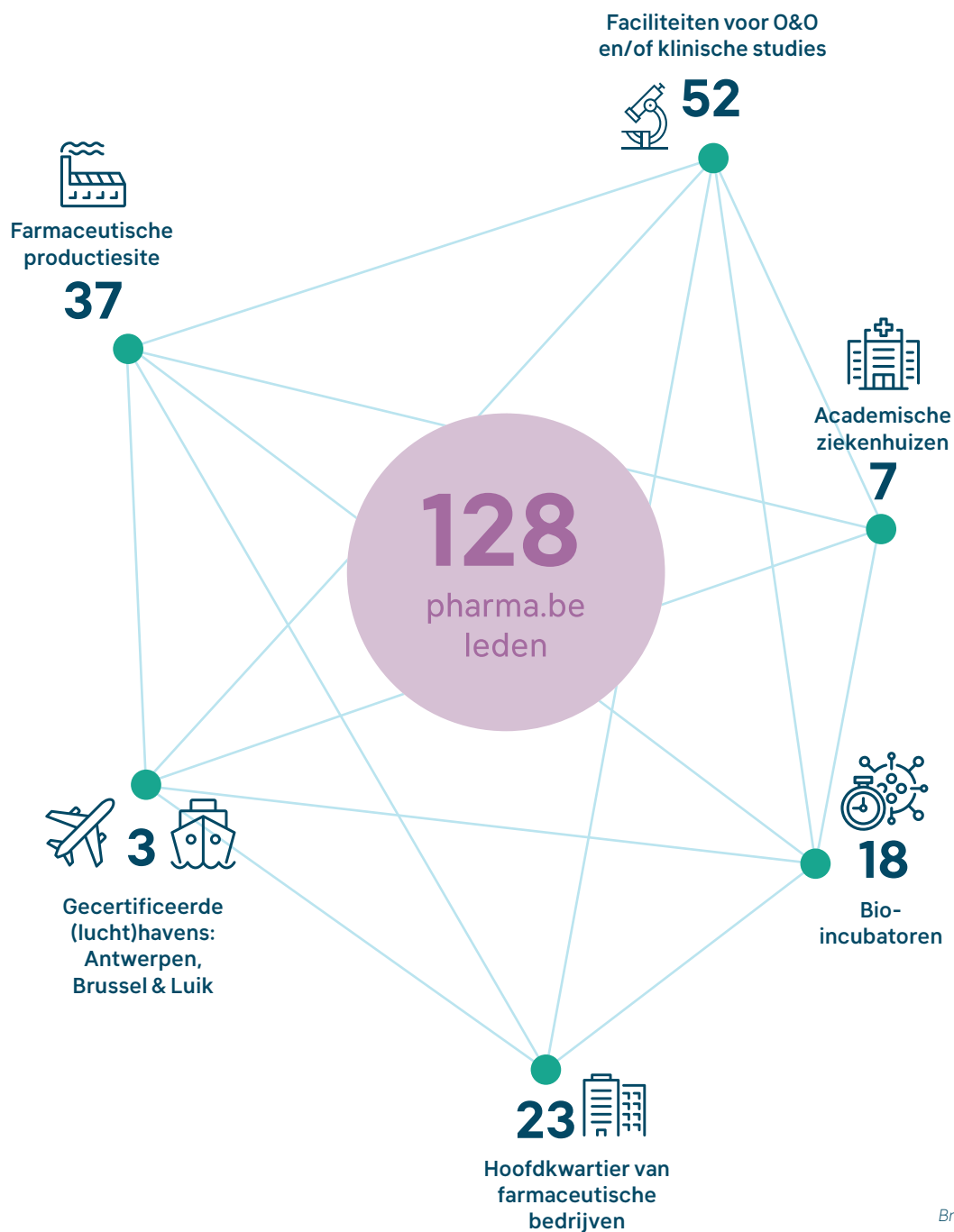


Ontdek  
onze leden



# 1.3 Als deel van een uitgebreid ecosysteem

De leden van pharma.be maken deel uit van een heus Belgisch biofarma ecosysteem, samen met onder andere de universiteiten en onderzoeksinstituten, academische ziekenhuizen, bio-incubatoren, maar ook logistieke actoren zoals luchthavens en de haven van Antwerpen.





























Bron: pharma.be



# 1.4 Met een team van experts

Het pharma.be team bestaat uit 26 heel gemotiveerde medewerkers met uiteenlopende ervaring en expertise. Zij verlenen diensten aan onze leden-bedrijven, vertegenwoordigen deze in relevante raden, comités en overlegorganen, en behartigen hun belangen op diverse niveaus.

Maak kennis met het team van pharma.be

				 <p><b>Caroline Ven</b> CEO</p>									
<p><b>Geert Steurs</b> Economics Director - Chief Economist</p>				<p><b>Herman Van Eeckhout</b> Political &amp; Finance Director</p>				<p><b>David Gering</b> Communications Director</p>				<p><b>Ann Adriaensen</b> Secretary General &amp; Public Health Director</p>	
		<p><b>Julie Gusman</b> Market Access Services Director</p>				<p><b>Marjan Willaert</b> Policy Advisor - Market Access</p>				<p><b>Marc Malfait</b> Market Access Advisor</p>			
<p><b>Hanne Wouters</b> Market Access Advisor</p>				<p><b>Magali Audiart</b> Pricing &amp; Market Access Advisor</p>				<p><b>Johan De Haes</b> Public &amp; Animal Health Advisor - SME Account Manager</p>				<p><b>Nathalie Lambot</b> Public Health &amp; Clinical Trials Advisor</p>	
		<p><b>Marie Vande Ginste</b> Public Health Advisor</p>				<p><b>Karen Crabbé</b> Economic &amp; Health Data Advisor</p>				<p><b>Thomas Cloots</b> Economic Advisor</p>			
<p><b>Tom De Spiegelaere</b> Healthcare Budget Advisor</p>				<p><b>Charlotte Weyne</b> Senior Legal Counsel &amp; EU Policy Advisor</p>				<p><b>Marie-Charlotte Destrée</b> Legal Counsel</p>				<p><b>Chloé Legrand</b> Members, Partners &amp; Office Assistant</p>	
		<p><b>Anne-Sophie Doms</b> Content Manager</p>				<p><b>Annick Vancutsem</b> Members, Partners &amp; Office Assistant</p>				<p><b>Denise Blockmans</b> Webmaster &amp; ICT Manager</p>			
<p><b>Melanie Balcaen</b> Finance &amp; HR Manager</p>				<p><b>Carine Vancutsem</b> Members, Partners &amp; Office Manager</p>				<p><b>Britt Hunninck</b> Members, Partners &amp; Office Assistant</p>				<p><b>Armand Voorschuur</b> EU Policy and Market Access Advisor</p>	

# 1.5 Gedreven bestuurders

De raad van bestuur staat in voor de strategische aansturing van pharma.be en is samengesteld uit 15 bestuurders. De huidige voorzitter van de raad van bestuur is Frédéric Clais (Eli Lilly Benelux). Ondervoorzitter is An Van Gerven (Pfizer). De mandaten van de leden van de raad van bestuur zijn geldig voor drie jaar. Ze worden verkozen tijdens de algemene vergadering.



**1 Frédéric Clais** Eli Lilly Benelux, **Voorzitter pharma.be** **2 An Van Gerven** Pfizer, **Ondervoorzitter pharma.be** **3 Renaud Decroix** AbbVie **4 Gabor Sztaniszlav** Amgen **5 Keira Driansky** AstraZeneca **6 Sally McNab** Bristol-Myers Squibb Belgium **7 Sabena Solomon** GlaxoSmithKline Pharmaceuticals **8 Maria Fernanda Prado** Janssen-Cilag **9 Brecht Vanneste** MSD Belgium **10 Federico Mambretti** Novartis **11 Marie-José Borst** Roche **12 Johan Heylen** Sanofi Belgium **13 Michael Nesrallah** Takeda Belgium **14 Willy Cnops** UCB Pharma **15 Paul Newton** Vertex Pharmaceuticals

## 1.6 Gespecialiseerde partners



De biofarmaceutische kennis en het reglementerende kader evolueren snel en zorgen voor een groeiende complexiteit. Onze leden gaan dan ook steeds vaker op zoek naar externe expertise bij dienstverleners om op de laatste evoluties te kunnen inspikken.

Om het contact en de interactie tussen leden en dienstverleners te bevorderen, bouwden we een modulair partneraanbod uit. Zo creëren we mee een actieve gemeenschap, stimuleren we uitwisseling en netwerking tussen onze leden en partners, en helpen we het Belgische biofarmaceutische ecosysteem verder uitbouwen.

In 2022 waren er 50 organisaties partner van pharma.be. Deze organisaties zijn actief in uiteenlopende expertisegebieden zoals prijs en terugbetaling, registratie van geneesmiddelen, geneesmiddelenbewaking, klinische studies, wetgeving, therapietrouw en goed gebruik van geneesmiddelen, of logistieke aspect.

Ontdek  
onze partners



## 1.7 En internationaal verankerd

pharma.be is als associatie ook internationaal verankerd, in de eerste plaats als lid van de **European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations** (EFPIA). EFPIA vertegenwoordigt de biofarmaceutische industrie die in Europa actief is. De directe leden omvatten 37 nationale verenigingen, 38 toonaangevende farmaceutische bedrijven en een groeiend aantal kleine en middelgrote ondernemingen (kmo's). EFPIA heeft de taak om een samenwerkingsklimaat te creëren dat haar leden in staat stelt om nieuwe behandelingen en vaccins te ontdekken, ontwikkelen en af te leveren voor mensen in heel Europa, en om bij te dragen aan de Europese economie.

pharma.be is ook lid van de **International Federation of Pharmaceutical Manufacturers and Associations** (IFPMA), die wereldwijd de innovatieve biofarmaceutische bedrijven en regionale en nationale associaties vertegenwoordigt.

## De praktische gids van pharma.be over de geneesmiddelenwet

De laatste jaren is duidelijk gebleken dat volksgezondheid en de farmaceutische sector hete hangijzers zijn. Ze zijn ook voortdurend in ontwikkeling, wat regelmatig leidt tot nieuwe juridische vragen, die snel en efficiënt moeten worden beantwoord.

Veel van de antwoorden zijn te vinden in de wet op de geneesmiddelen voor menselijk gebruik, die de basis vormt voor de regulering van geneesmiddelen in België. Deze wet is één van de pijlers van het juridische kader waarbinnen biofarmaceutische bedrijven in België werken. Zij is van toepassing op geneesmiddelen gedurende een groot deel van hun levenscyclus: van de aanvraag van een vergunning voor het op de markt brengen, over het maken en verspreiden, tot de bewaking van de veiligheid van geneesmiddelen en reclame.

Maar het is soms moeilijk om volledige en concrete informatie te vinden waarop je de toepassing van de wettelijke bepalingen op praktische cases kan baseren. Om hieraan tegemoet te komen, heeft pharma.be een pragmatisch en helder naslagwerk gepubliceerd met een juridisch overzicht van het geneesmiddelenrecht.

Het concept van de gids is eenvoudig: het bevat een commentaar op elk van de artikelen van de Geneesmiddelenwet. De commentaren zijn zo functioneel mogelijk geschreven:

- zij bevatten concrete informatie over de praktische uitvoering van de wet,
- de context waarin de bepalingen ervan zijn aangenomen,
- hun uitvoering door de autoriteiten,
- maar ook verwijzingen naar relevante doctrine en jurisprudentie.

De praktische juridische analyses zijn geschreven door experts in farmaceutisch recht en life sciences, waarvan de meesten partner zijn van pharma.be. Het resultaat laat opnieuw zien dat er in België een schat aan juridische expertise is waarop alle stakeholders in de sector van de gezondheidszorg kunnen rekenen.

Meer informatie over de Praktische gids over de wet op de geneesmiddelen voor menselijk gebruik



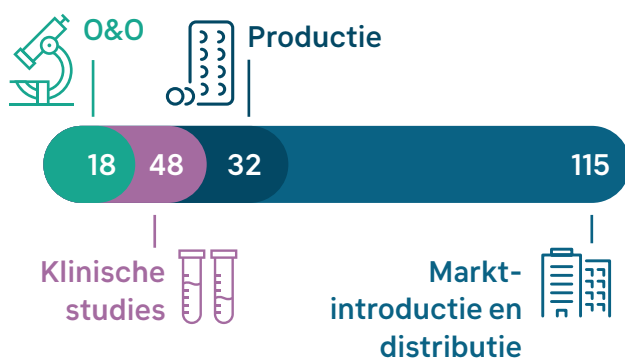
Wat  
we doen



## 2.1 Actief in de hele waardeketen

Samen bekleden de leden-bedrijven van pharma.be **een sterke positie in Europa in elk belangrijk aspect van de biofarmaceutische waardeketen**, van O&O en klinische studies over productie tot de marktintroductie en distributie van geneesmiddelen. Dit is te danken aan een unieke combinatie van een goed ontwikkeld ecosysteem, hoogopgeleide arbeidskrachten en een sterke samenwerking met overheden en onderzoekscentra.

### De activiteiten van de pharma.be-leden in België



Bron: pharma.be

De voordelen van een geïntegreerde benadering van de waardeketen zijn groot, zowel voor de patiënten, hun omgeving en de gezondheidszorg, als voor de economie. Dit is tijdens de COVID-19-pandemie overduidelijk gebleken. De Belgische biofarmaceutische sector kon de uitdaging volledig aangaan, van onderzoek en productie tot de introductie van innovatieve oplossingen voor de patiënt.

In dit luik gaan we vooral dieper in op de innovatie-activiteiten van onze leden-bedrijven in België met het oog op betere oplossingen voor de patiënt: hoeveel ze investeren in O&O, de klinische studies die ze hier doen, en de nieuwe geneesmiddelen waarvoor onze bedrijven terugbetaling hebben aangevraagd en gekregen. In hoofdstuk drie bekijken we dan de meerwaarde van die activiteiten voor patiënten, zorgsector en maatschappij, en de economische return ervan.



## 2.2 Onderzoek & Ontwikkeling als motor voor innovatie

### 2.2.1

#### Investeringen in O&O in België

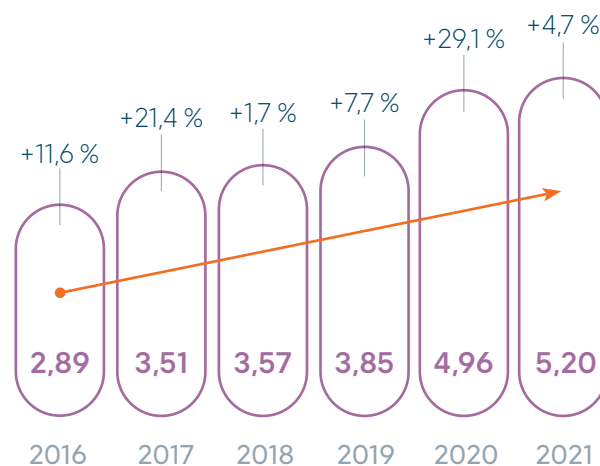
Dankzij het grote aantal klinische studies in ons land krijgen deelnemende patiënten gratis én snel toegang tot de recentste behandelingen (zie 2.3). Deze leidende positie is evenwel geen verworvenheid. Om koploper te blijven, investeren onze bedrijven meer en meer in O&O:

- De sector investeerde in 2021 **elke dag ruim 14 miljoen euro** in O&O, goed voor een totaalbedrag van **5,2 miljard euro**.
- Sinds 2015 zijn de investeringen in O&O meer dan verdubbeld. Vooral in de voorbije twee jaar stegen de investeringen, met maar liefst meer dan 35 %.
- Er werd in 2021 in België gemiddeld meer dan één octrooiaanvraag per dag ingediend in het domein van farmacie en biotechnologie.
- Sinds 2015 is het aantal octrooiaanvragen in die domeinen met bijna twee derde toegenomen.

Door de COVID-19-pandemie is de focus tijdelijk verschoven, maar ondertussen gaat de zoektocht naar innovatieve oplossingen in alle therapeutische domeinen verder.

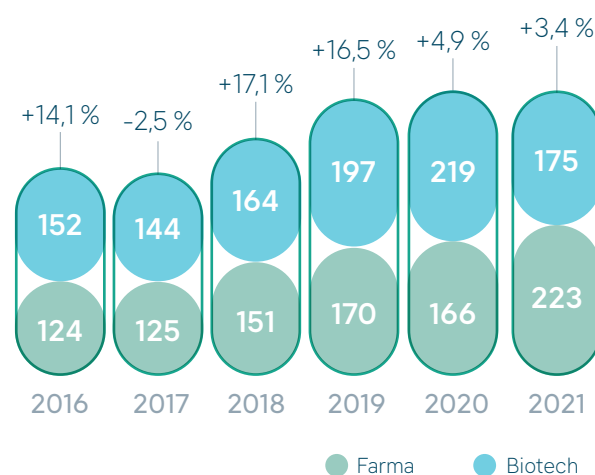


#### Evolutie investeringen in O&O in België (miljard euro)



Bron: pharma.be, enquête onder leden

#### Evolutie aantal octrooiaanvragen in België



Bron: European Patent Office, European patent applications 2011-2021 per field of technology



## Octrooien op geneesmiddelen en vaccins: pharma.be discussieert mee over hun belang voor patiënten, maatschappij en de sector

Intellectuele eigendomsrechten, onder meer octrooien, zijn een hoeksteen van ons innovatiesysteem. Octrooien geven de aanvrager ervan tijdelijk het recht om zijn uitvinding te beschermen. In ruil dient de uitvinding bekendgemaakt te worden. Tijdens de COVID-19-pandemie laaide een hevige discussie op over octrooien op de vaccins. Is het oké dat levensreddende vaccins beschermd worden door een octrooi? Zijn octrooien in het algemeen wel een goed idee voor een belangrijke industrie zoals de geneesmiddelensector? Behoren geneesmiddelen niet iedereen toe?

pharma.be erkent vanuit haar maatschappelijke rol de relevantie van deze vragen en publiceerde daarom een brochure die de discussie vanuit een correct begrip van de situatie en de context waarin ze spelen kadert. Het belang van octrooien voor patiënten, maatschappij en de sector mag immers niet onderschat worden: ze maken investeringen mee mogelijk, faciliteren samenwerking met de andere actoren in het ecosysteem, en houden de hele motor van innovatie in de gezondheidszorg draaiende. Niet voor niets is het aantal octrooiaanvragen één van de indicatoren die de Europese Commissie opneemt in haar *Innovation Scoreboard*, dat de onderzoeks- en innovatiesterkte van de lidstaten meet. Belangrijk daarbij is het *forward looking* karakter van octrooien. Op het moment van de aanvraag is de potentiële waarde ervan vaak nog onbekend. Er volgt nog een lang en veelal duur ontwikkelingstraject, met al dan niet kans op slagen.

*"Het bestaan van octrooien in de gezondheidssector wordt soms in vraag gesteld. Toch is deze bescherming van intellectuele eigendom essentieel voor innovatie en dus voor de economie en de samenleving. De positie van België zou niet zijn wat ze is in de biowetenschappen zonder het bestaan van een intellectuele eigendomsbescherming die die naam waardig is."*

Bruno Wattenbergh, Voorzitter Innovation Board EY België  
en professor Strategie en Ondernemerschap aan de Solvay Business School

Bekijk de brochure



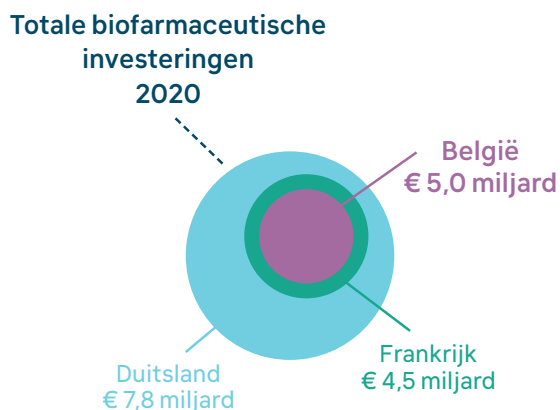
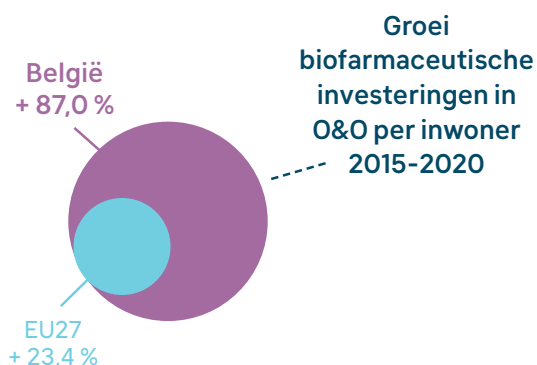
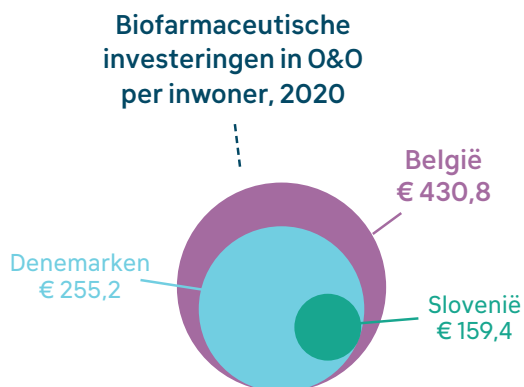


## 2.2.2 Investerings in O&O in vergelijking met Europa

België mag dan een klein land zijn, de patiënten en de gezondheidszorg kunnen verhoudingsgewijs rekenen op bijzonder grote investeringen in biofarmaceutische innovatie. **Het totaalbedrag van investeringen in O&O in de Belgische biofarmaceutische sector is vergelijkbaar met dat van veel grotere Europese landen.** Kijken we naar de cijfers van 2020, het laatst beschikbare jaar, dan zien we dat België op de tweede plaats staat, na Duitsland, en voor landen als Frankrijk en Italië. En dat terwijl we qua inwonersaantal slechts op de achtste plaats staan.

Bekijken we de investeringen per inwoner, dan is België absoluut koploper. Onze investeringen in 2020 lagen bijna 70 % hoger dan die van Denemarken, tweede in de ranking, en waren maar liefst bijna drie keer zo hoog als de investeringen in Slovenië, dat op nummer drie staat.

In de periode 2015-2020 groeiden de investeringen per inwoner met meer dan 87 %, bijna vier keer zoveel in vergelijking met de groei van het totaalbedrag van O&O-investeringen per inwoner in Europa. De andere landen in de top drie in 2015, waaronder de huidige nummer twee Denemarken, kenden een negatieve groei.



Bron: pharma.be, enquête onder leden & EFPIA, The Pharmaceutical Industry in Figures, Key Data 2022

## De biofarmaceutische sector als drijvende kracht voor een innovatief België

België heeft een hele weg afgelegd om te komen tot waar het vandaag staat: een innovatieleider volgens het European Innovation Scoreboard<sup>1</sup>. Jarenlange gezamenlijke inspanningen van kennisinstellingen, bedrijven en overheden hebben ervoor gezorgd dat België in 2022 binnen de EU op een vijfde plaats staat. België presteert zo'n 29 % beter dan het EU-gemiddelde en moet enkel Zweden, Finland, Denemarken en Nederland laten voorgaan.

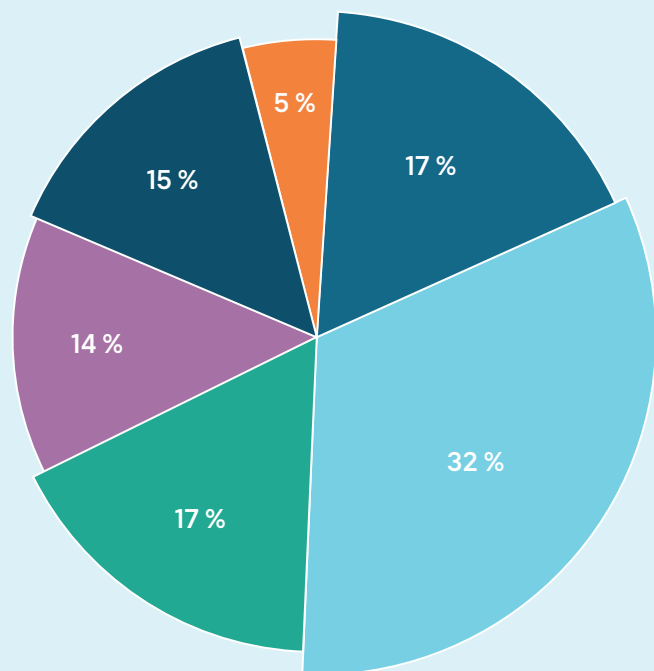
Deze sterke prestaties op het vlak van innovatie komen ook tot uiting in de cijfers over het aandeel van de O&O-uitgaven in het BBP. Waar dit in 2015 nog geen 2,5 % bedroeg, werd in 2019 de 3 % overschreden (de zogenaamde Lissabon-norm). Met een aandeel van 3,5 % in 2020 staat België samen met Zweden op de eerste plaats in de EU<sup>2</sup>.

De bijdrage van de bedrijfssector in dit resultaat is cruciaal, met een geschat aandeel van 2,49 % in 2020, of bijna drie vierde van het Belgische totaal<sup>3</sup>. Bedrijven zijn dus duidelijk de motor van de O&O-investeringen in België. De biofarmaceutische sector neemt hierin een vooraanstaande plaats in. Het is de sector met veruit de grootste investeringen in O&O, goed voor een derde van de totale O&O-bedrijfsinvesteringen in België<sup>4</sup>.

Bovendien groeien de investeringen van de sector in O&O sneller in vergelijking met het geheel van de andere sectoren, waardoor het gewicht van de sector jaar na jaar toeneemt. De bijdrage van de Belgische biofarmaceutische sector is dan ook cruciaal voor het uitzonderlijke resultaat van België en het bereiken van de Lissabon-norm.

### SECTORAANDEEL IN O&O UITGAVEN VAN DE BEDRIJFSSECTOR

- Verwerkende industrie - andere (NACE 10 - 20, 22-24, 31-33)
- Andere sectoren
- Diensten voor de bedrijfssector - informatie en communicatie (NACE 58-63)
- Diensten voor de bedrijfssector - andere (NACE 45-57, 64-82)
- Verwerkende industrie - metaal, IT, elektronica, optica, elektrische toestellen, machines (NACE 25-30)
- Verwerkende industrie - farmaceutische sector (NACE 21)



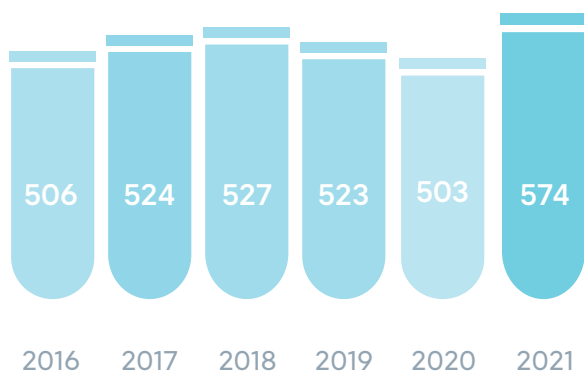
Bron: Belspo, Totale intramurale uitgaven voor O&O

## 2.3 Klinische studies met het oog op nieuwe behandelingen

Klinische studies zijn een essentiële fase in de ontwikkeling van een nieuw vaccin of geneesmiddel. Met een klinische studie kan je bij mensen **testen of een geneesmiddel doeltreffend en veilig is**. Dit zorgt ook voor waardevolle nieuwe inzichten in de behandeling of preventie van ziektes. Klinische studies vormen daardoor een belangrijke bron van inspiratie voor nieuw fundamenteel wetenschappelijk onderzoek. Tegelijk zorgen klinische studies ervoor dat **patiënten gratis toegang krijgen tot de nieuwste behandelingen** nog voor ze op de markt zijn.

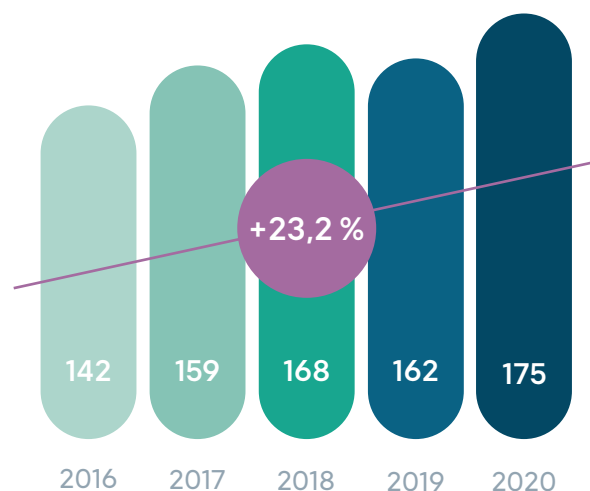
Ook op het vlak van klinische studies bevestigde België in **2021** zijn positie als Europese leider, met **574 goedgekeurde aanvragen, waarvan 80 % geïnitieerd door bedrijven**. Dat België koploper is, is het resultaat van een samenspel van diverse elementen: de sterke aanwezigheid en de opgebouwde expertise van de biofarmaceutische bedrijven, de kwaliteit van de wetenschappelijke gemeenschap, de infrastructuur van onderzoekscentra en ziekenhuizen, en het expertise-niveau van de onderzoekers en van de bevoegde autoriteiten, met name het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (FAGG).

Aantal goedgekeurde aanvragen voor klinische studies



Bron: Fagg gegevens

Evolutie aantal aanvragen klinische studies kanker in België (2016-2020)



Bron: Deloitte report "Belgium as a clinical trials location in Europe - key results 2020"

De grote hoeveelheid klinische studies laat in ieder geval zien dat biofarmaceutische bedrijven bereid zijn om in ons land te blijven investeren om nieuwe oplossingen te vinden voor een breed scala van therapeutische domeinen. Studies over behandelingen van virale ziektes en aandoeningen van het zenuwstelsel staan in de top drie van klinische studies in België. Op nummer één staat onderzoek naar geneesmiddelen om kanker te bestrijden.

Zo zijn in 2020 in België 175 klinische studies gestart voor de behandeling van kanker, of iets minder dan 15 nieuwe studies per maand. 19 % van de klinische studies die in 2020 in Europa werden uitgevoerd om geneesmiddelen tegen kanker te testen, gebeurde in België.



## Clinicaltrial.be: een portaalsite rond klinische studies

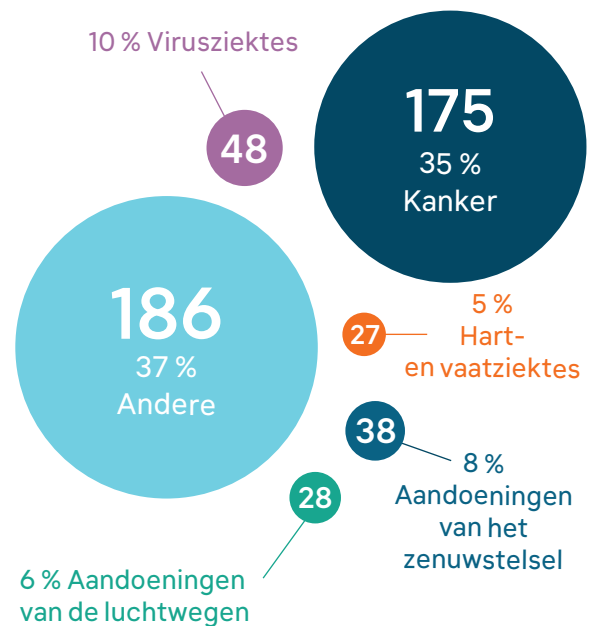
Nieuwe technologieën en doorbraken volgen elkaar razendsnel op in de biofarmaceutische sector (zie ook 3.1). Het is cruciaal dat patiënten zo snel mogelijk toegang krijgen tot deze innovaties. Klinische studies kunnen hierin een grote rol spelen. Voorwaarde is evenwel dat artsen en patiënten goed weten welke studies er lopen. En dat is op vandaag nog niet zo. Daarom maakt Patient Centrics – Esperity momenteel werk van een portaalsite, clinicaltrial.be.

Het bundelen van informatie over klinische studies lijkt evident, maar er komen heel wat aspecten bij kijken. Zo bestaat er op Europees niveau een officiële databank die alle goedgekeurde klinische studies oplijst. De info is evenwel in het Engels en het is niet altijd makkelijk om de weg te vinden in de bijzonder uitgebreide data. De databank van het FAGG is dan weer beperkt tot klinische studies in België, terwijl het voor patiënten met een zeldzame aandoening net interessant kan zijn om over de grens te kijken.

Er spelen ook heel wat actoren mee: naast farmabedrijven, zetten ook onderzoeksinstituten of ziekenhuizen, of zelfs individuele onderzoekers klinische studies op. De informatieverspreiding kan al even divers gebeuren: door de bedrijven, via ziekenhuisportalen, of door patiëntenorganisaties die alles voor één aandoening proberen te bundelen. Cruciaal is uiteraard ook de betrouwbaarheid van de data. Er is één officiële bron nodig die alle goedgekeurde informatie aan de verschillende stakeholders kan bezorgen. De databank van het European Medicines Agency (EMA) lijkt een logische bron, maar het nadeel is dat het EMA zich beperkt tot studies van geneesmiddelen. Testen van medische hulpmiddelen vind je niet in de databank terug, terwijl deze de levenskwaliteit van patiënten wel beduidend kunnen verhogen.

De nood aan allesomvattende maar toch duidelijke en makkelijk toegankelijke informatie over klinische studies is dus hoog. Patient Centrics – Esperity gaat de uitdaging aan en bouwt onder meer samen met de industrie, patiënten en de academische wereld de portaalsite clinicaltrial.be uit. Deze bundelt info over studies in België en het buitenland, en maakt deze beschikbaar in het Frans en het Nederlands.

## Aandeel aanvragen klinische studies in België volgens ziektedomein (2020)



Bron: Deloitte report "Belgium as a clinical trials location in Europe – key results 2020"

Het is belangrijk voor zowel patiënten als hun behandelende artsen dat er duidelijke, toegankelijke en liefst gecentraliseerde informatie is over alle lopende klinische studies in België. Dit is vandaag nog niet optimaal. **Daarom ondersteunt pharma.be de initiatieven voor het oprichten van een portaalsite** die de officiële informatie over de goedgekeurde studies in België in het Frans en het Nederlands aanbiedt (zie kader).

"Sommige mensen willen uit puur altruïsme meedoen aan klinische studies, in andere gevallen gaat het om patiënten met een bepaalde medische nood. Ze lijden bijvoorbeeld aan een zeldzame ziekte waarvoor nog geen medicatie bestaat, of de medicatie die ze nu nemen geeft te veel bijwerkingen of heeft onvoldoende effect. Wij vinden dat klinische studies, indien medisch verantwoord, eigenlijk een volwaardige behandelingsoptie moeten worden. Artsen moeten altijd het contactpunt blijven voor de patiënt die op zoek is naar meer informatie over studies, maar het portaal kan mensen met een medische nood wel helpen om vragen te stellen."

Mitchell Silva, CEO van Patient Centrics – Esperity

## 2.4 Nieuw terugbetaalde geneesmiddelen voor de patiënt

De O&O-activiteiten van onze leden-bedrijven en de klinische studies die ze uitvoeren, in België en elders in de wereld, resulteren in de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen. Om die ter beschikking te stellen van patiënten in België, doen bedrijven een aanvraag tot terugbetaling bij het Rijksinstituut voor Ziekte- en Invaliditeitsverzekering (RIZIV) zodat de patiënten niet de volledige kost hoeven te betalen.

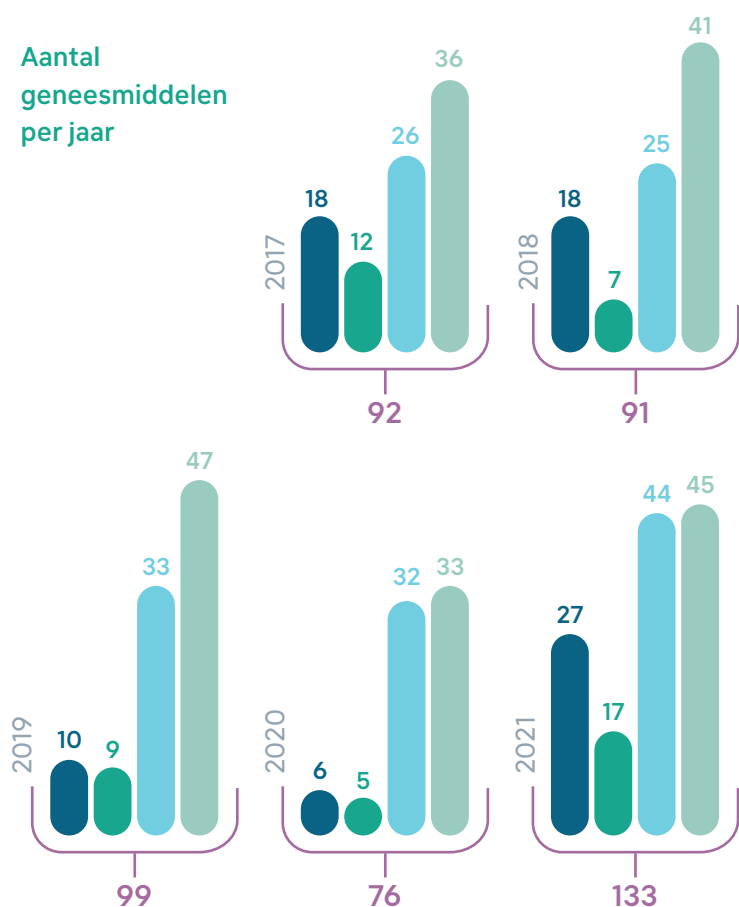
Hieronder geven we informatie over de evolutie van het aantal nieuw terugbetaalde geneesmiddelen in België. De meerwaarde van de in 2021 nieuw terugbetaalde geneesmiddelen komt aan bod in hoofdstuk drie.

### 2.4.1 Volgens type

Het totaal aantal nieuw terugbetaalde geneesmiddelen steeg in de periode 2017-2019 maar kende een terugval in 2020. Dit had te maken met COVID-19, waardoor de werkzaamheden van de commissie die over de terugbetalingsaanvragen beslist tijdelijk werden geschorst.

In 2021 verdubbelde zowat het aantal nieuwe terugbetaalde geneesmiddelen in vergelijking met 2020 dankzij een inhaalbeweging van dossiers die in 2020 on hold werden gezet. De impact is opvallend voor de geneesmiddelen met een therapeutische meerwaarde en de weesgeneesmiddelen.

#### Aantal geneesmiddelen per jaar



Bron: pharma.be

Toelichting:

- Een geneesmiddel **met een therapeutische meerwaarde** biedt volgens het betrokken farmaceutische bedrijf een hogere therapeutische waarde dan een aanvaarde standaardbehandeling. Dit betekent dat de ziekte met dit geneesmiddel beter behandeld wordt.
- Een weesgeneesmiddel is een geneesmiddel **voor de behandeling van een zeldzame ziekte** en biedt daardoor vaak een oplossing voor een onbeantwoorde medische nood.
- Een **nieuwe indicatie verwijst** naar een geneesmiddel dat al voor een bepaalde indicatie/aandoening wordt terugbetaald en waarvoor het bedrijf een bijkomende terugbetaling aanvraagt voor een andere indicatie/aandoening. Dat kan bijvoorbeeld een geneesmiddel zijn dat al wordt vergoed voor de behandeling van longkanker maar nu ook wordt terugbetaald voor de behandeling van darmkanker.
- Een **me-too geneesmiddel** biedt geen hogere therapeutische waarde dan bestaande geneesmiddelen voor dezelfde indicatie/aandoening maar kan wel een meerwaarde zijn voor de patiënt omwille van verbetering in dosering, toedieningschema, comfort of gebruiksgemak. Bijkomend voordeel van deze geneesmiddelen is de grotere garantie dat een behandeling kan worden verder gezet bij niet-beschikbaarheid van de bestaande geneesmiddelen.

- Geneesmiddel met een therapeutische meerwaarde
- Weesgeneesmiddel
- Nieuwe indicatie
- Me-too geneesmiddel
- Totaal

## 2.4.2

### Volgens therapeutisch domein

In onderstaande tabel vind je een overzicht van de therapeutische domeinen (Anatomical Therapeutic Chemical, ATC) waarin nieuwe geneesmiddelen in 2021 werden terugbetaald. Meer dan de helft gaat over nieuwe geneesmiddelen tegen kanker of immunomodulerende middelen (ATC L). Daarnaast kwamen er ook relatief meer nieuwe geneesmiddelen beschikbaar tegen infecties (ATC J), aandoeningen van het bloed en bloedvormende organen (ATC B), aandoeningen van het spijsverteringsstelsel en het metabolisme (ATC A) en van het ademhalingsstelsel (ATC R).

ATC-code	Aantal terugbetaalde geneesmiddelen in 2021	ATC-hoofdgroep	Voorbeelden van pathologie
A	9	spijsverteringsstelsel en metabolisme	diabetes, leverporfyrie, erfelijke tyrosinemie
B	10	bloed en bloedvormende organen	hemofilie A, trombocytopenie, beta-thalassemie
C	0	cardiovasculair systeem	hartfalen
D	0	dermatologica	atopische dermatitis
G	0	urogenitaal stelsel en geslachtshormonen	baarmoederfibroom
H	2	systemische hormonale preparaten (m.u.v. insuline en geslachtshormonen)	groeiachterstand
J	12	anti-infectie middelen voor systemisch gebruik	HIV-infecties, bacteriële infecties, hepatitis B
L	72	antineoplasie en immunomodulerende stoffen	solide en hematologische tumoren, multiple sclerose, hemorragische colitis, psoriasis, o.a.
M	5	bewegingsapparaat	spinale musculaire atrofie, osteoporose, o.a.
N	8	zenuwstelsel	migraine, epilepsie, ernstige depressie, amyloïdose...
P	0	antiparasitische middelen, insecticiden en repellents	anthelmintica
R	9	ademhalingsstelsel	mucoviscidose, astma, obstructieve luchtwegaandoeningen
S	3	zintuigstelsel	erfelijke retinale dystrofie, diabetisch macula-oedeem
V	3	varia	hyperkaliëmie, contrastmiddel

Bron: pharma.be

Voor wie we  
meerwaarde  
creëren



## Onze innovaties zorgen in de eerste plaats bij patiënten voor betere gezondheidsresultaten, een toename van de levensverwachting en een hogere levenskwaliteit<sup>5</sup>:

- In de voorbije 20 jaar is het aantal vroegtijdige sterfgevallen voor ziektes die in België veel voorkomen, zoals **COPD (chronisch obstructieve longziekte), beroertes, hartfalen en diabetes type I**, met 8 tot 40 % gedaald dankzij de geneesmiddelen die de belangrijkste behandelingen vormen voor deze ziektes.
- Op het gebied van **hart- en vaatziekten** is het sterftcijfer sinds 2000 met 45 % gedaald. Dankzij nieuwe geneesmiddelen is het aantal sterfgevallen met 4.000 per jaar gedaald.
- Op het gebied van **diabetes** zijn in de afgelopen 20 jaar 70 nieuwe behandelingen geïntroduceerd. Dit heeft geleid tot een aanzienlijke verbetering van de levenskwaliteit van de patiënten.
- **HIV (AIDS-virus)** is tegenwoordig geen dodelijke maar een chronische ziekte die met medicijnen onder controle kan worden gehouden. Ongeveer 90 % van de behandelde patiënten kan een normaal professioneel leven leiden.

Maar innovatieve geneesmiddelen zorgen ook op heel wat andere vlakken voor meerwaarde: minder operaties en ziekenhuisopnames bijvoorbeeld, of een minder lang ziekteverlof. Soms kan werkonbekwaamheid helemaal worden vermeden, in andere gevallen kan de patiënt sneller opnieuw aan de slag na zijn behandeling. Indirect kunnen familie en vrienden ook sneller terug voltijds werken omdat de patiënt minder zorg nodig heeft. Dit alles zorgt voor een positief effect op de arbeidsmarkt. Dit beperkt meteen ook de kosten voor de overheid en creëert toegevoegde waarde voor de economie en de maatschappij.

In dit hoofdstuk gaan we eerst dieper in op de meerwaarde die de biofarmaceutische sector creëert voor **patiënt, zorgsector en maatschappij**. We illustreren dit met voorbeelden van geneesmiddelen die in 2021 nieuw werden terugbetaald. We kijken ook al even vooruit naar beloftevolle (r)evoluties in de biofarmaceutische sector. Daar stopt het verhaal evenwel niet. Onze sector is ook een belangrijke sterkhouders van onze **kennis-economie**. De cijfers van tewerkstelling en export waren al indrukwekkend en zijn ook in 2021 alleen maar gegroeid. Dit wordt weerspiegeld in de positieve kosten-batenanalyse van onze sector voor de Belgische overheid.



# 3.1 Een positieve impact voor patiënten, zorgsector en maatschappij

## 3.1.1

### De meerwaarde van de nieuw terugbetaalde geneesmiddelen

In 2021 kregen heel wat nieuwe geneesmiddelen goedkeuring voor terugbetaling (zie 2.4). Deze zorgen voor een belangrijke meerwaarde voor de patiënt. We geven hieronder een aantal voorbeelden voor wie we meerwaarde creëren uit de groep van geneesmiddelen waarvan de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen (CTG) de therapeutische meerwaarde erkende, en van weesgeneesmiddelen.

#### Kortedarmsyndroom met darmfalen

Door het kortedarmsyndroom met darmfalen of SBS-IF vermindert de darmfunctie tot onder het minimum dat nodig is voor de opname van macronutriënten, water en elektrolyten. Dit maakt dat de patiënt intraveneuze aanvulling moet krijgen. SBS-IF is vaak het gevolg van een (gedeeltelijke) verwijdering van de dunne darm omwille van een vasculaire gebeurtenis, de ziekte van Crohn, chirurgische complicaties of aangeboren aandoeningen<sup>6</sup>.



Om te overleven hebben patiënten met SBS-IF nood aan langdurige parenterale voeding (PV). Dit is voeding die via een katheter rechtstreeks in een ader wordt toegediend. De toediening gebeurt gemiddeld vijf nachten per week. Langdurige PV tast niet alleen de levenskwaliteit van de patiënt aan maar gaat ook gepaard met ernstige complicaties, zoals het risico op infectie en sepsis, trombose en leverziekte<sup>7</sup>.

Sinds 2021 wordt een geneesmiddel voor SBS-IF terugbetaald: een analoog van een natuurlijk groeihormoon GLP-2, dat een belangrijke rol speelt in de structuur en functie van de dunne darm en de opname van macronutriënten, water en elektrolyten. Dankzij dit geneesmiddel hebben patiënten minder PV nodig, zowel in volume als in aantal dagen. Sommige patiënten hebben zelfs geen PV meer nodig<sup>8,9,10</sup>.

Sowieso betekent één of meerdere dagen 'vrijheid' van deze PV voor patiënten dat ze niet gebonden zijn aan hun infuus en andere dingen kunnen gaan doen. Real World Data tonen aan dat de levenskwaliteit van deze patiënten significant verbeterde<sup>11</sup>.

#### Acute myeloïde leukemie

Acute myeloïde leukemie (AML) is een zeldzame, ernstige en kwaadaardige ziekte van de witte bloedcellen in het beenmerg<sup>12</sup>. AML staat de normale bloedvorming in de weg. Patiënten hebben niet-specifieke symptomen zoals gewichtsverlies, vermoeidheid, koorts, nachtelijk zweten, verlies van eetlust en verhoogde vatbaarheid voor bloedingen, blauwe plekken en infecties<sup>13</sup>. Bij AML-patiënten worden verschillende genmutaties gediagnosticeerd; de FLT3-mutatie wordt bij ongeveer 30 % van de patiënten vastgesteld.

AML is een snel evoluerende ziekte en patiënten hervallen vaak na behandeling<sup>14</sup>. De prognose na herval is ongunstig: minder dan 30 % van de patiënten is één jaar na herval nog in leven<sup>15</sup>.

Sinds 2021 is er een nieuw oraal weesgeneesmiddel voor de behandeling van volwassen AML-patiënten met de FLT3-mutatie die hervallen na, of niet langer reageren op, (een) vorige behandeling(en). Met deze nieuwe behandeling wordt een mediane overlevingswinst geboekt van 3,7 maanden tegenover de standaardbehandeling (9,3 maanden ten opzichte van 5,6 maanden), terwijl de levenskwaliteit van deze ernstig zieke patiënten dezelfde blijft<sup>16</sup>.

Bovendien treedt bij meer patiënten een volledige of gedeeltelijke respons op de behandeling op (34,0 % ten opzichte van 15,3 % bij standaardbehandeling). Daardoor kunnen meer patiënten overgaan tot stamceltransplantatie (25,5 % t.o.v. 15,3 %)<sup>17</sup>, op vandaag de enige mogelijke curatieve behandeling van AML. De orale toedieningswijze laat ook behandeling in de thuisomgeving toe. Dit verhoogt het patiëntcomfort en vermindert het aantal ziekenhuisbezoeken.

### Cutane T-cel lymfomen

Cutane T-cel lymfomen (CTCL) is een kanker van de witte bloedcellen in de huid<sup>18,19</sup>. Het is een zeldzame, ernstige en potentieel dodelijke ziekte, die in Europa ongeveer 240 mensen per miljoen treft<sup>20</sup>.

Twee subtypes van CTCL zijn verantwoordelijk voor ongeveer twee derde van de gevallen: mycosis fungoides (MF) en het Sézary-syndroom (SS)<sup>21,22</sup>.

MF ontwikkelt en verspreidt zich meestal traag en wordt gekenmerkt door huidsymptomen, vooral dan droge of schilferige plekken, huiduitslag en, in sommige gevallen, huidtumoren<sup>23</sup>. SS is veel agressiever met sterker afwijkende bloedwaarden. Dit veroorzaakt zeer ernstige jeuk, totale roodheid van het lichaam (erythroderma) en intense huidschilfering<sup>24, 25, 26</sup>.

CTCL is vaak moeilijk vast te stellen, en kan in een vroeg stadium worden verward met huidaandoeningen zoals eczeem en psoriasis. De chronische huidaandoeningen, slaapproblemen, psychosociale problemen, de stigmatisatie en impact op de mentale gezondheid zijn aanzienlijk.



Al in een vroeg stadium kan de ziekte een sterke impact hebben op het dagelijkse leven van de patiënt. Werken of studeren wordt bemoeilijkt en de normale dagelijkse activiteiten worden beperkt. CTCL kan ook behoorlijk belastend zijn voor de zorgverleners.

Dankzij nieuwe wetenschappelijke doorbraken beschikken we vandaag over systemische therapieën die de onderliggende oorzaak van CTCL aanpakken. Daardoor verhoogt de progressievrije overleving, en verbeteren de algemene respons en de levenskwaliteit van mensen die met deze ziekte moeten leven.

### Amyloïde transthyretine cardiomyopathie

Amyloïde transthyretine cardiomyopathie (ATTR-CM) is een invaliderende stapelingsziekte. Eiwitten die het lichaam aanmaakt worden in een verkeerde vorm gevouwen, klitten samen tot amyloïdvezels, en veroorzaken schade aan de hartspier. Dit leidt onder meer tot hartritme stoornissen en hartfalen. Wanneer ATTR-CM niet wordt behandeld, dan is de prognose erg somber, met een beperkte overlevingsduur. De erfelijke vorm treft ongeveer één op 100.000 Europeanen. De leeftijdsgebonden wild-type vorm komt vaker voor en treft naar schatting tot één op vier 80-plussers<sup>27</sup>.

Het ziektebeeld is moeilijk te herkennen en de diagnose wordt vaak (te) laat gesteld. De aandoening verloopt immers niet volgens een vast patroon en veroorzaakt uiteenlopende symptomen, ook buiten het hart. Tintelingen in handen en vingers door carpaaltunnel syndroom zijn bijvoorbeeld een waarschuwingssignaal maar worden meestal niet in verband gebracht met het onverklaarbare hartfalen van een patiënt<sup>28</sup>.

Tijdige opsporing van ATTR-CM is nochtans uitermate belangrijk voor de patiënt<sup>29</sup>, zeker nu de diagnostiek en de behandelingsmogelijkheden verbeteren. Sinds 2021 wordt een innovatief geneesmiddel terugbetaald dat erop gericht is om de ophoping van eiwitten te verminderen en zo de ziekte en functionele beperkingen te vertragen en de overlevingskansen te vergroten<sup>30</sup>. Tegelijk verhoogt de levenskwaliteit van de patiënten en worden ze minder vaak in het ziekenhuis opgenomen<sup>31</sup>. Vroeger was er alleen symptomatische behandeling en orgaantransplantatie, maar vanwege hun leeftijd, gelijktijdige ziektes en een tekort aan donoren kwamen de meeste patiënten met ATTR-CM niet in aanmerking voor transplantatie<sup>32</sup>. Het nieuwe geneesmiddel is dus een belangrijke stap vooruit en vult een hoge medische nood in.



### Multipel myeloom

Multipel myeloom of de ziekte van Kahler is een vorm van kanker in het beenmerg. Jaarlijks krijgen in België ongeveer 1.000 mensen, meestal 55-plussers, deze diagnose<sup>33</sup>. Bij patiënten die niet in aanmerking komen voor beenmergtransplantatie is de gemiddelde levensverwachting tussen 3,5 en 6 jaar<sup>34</sup>.

De behandeling van multipel myeloom is gericht op het verlengen van de levensduur en het voorkomen van herval, met maximaal behoud van de levenskwaliteit. De laatste jaren is dit beduidend geëvolueerd dankzij het inzetten van nieuwe geneesmiddelen en combinaties ervan. In 2021 werd de terugbetaling goedgekeurd voor de toevoeging van een nieuw geneesmiddel aan bestaande combinatie bij patiënten die nog niet eerder werden behandeld. Met deze nieuwe combinaties vermindert de kans op herval of overlijden met 47 % tot 58 %.<sup>35,36</sup> Ook de levenskwaliteit wordt er duidelijk beter op.<sup>37,38</sup> Dit is extra belangrijk omdat binnen hematologische kankers, patiënten met multipel myeloom de slechtste levenskwaliteit hebben<sup>39</sup>.

Daarnaast kunnen ook nieuwe toedieningsvormen de kwaliteit van de behandeling vergroten. Zo kwam in plaats van een langdurige injectie een subcutane variant beschikbaar. Daardoor hoeven patiënten veel minder lang in het ziekenhuis te verblijven<sup>40</sup> en wordt in de toekomst ook thuisbehandeling mogelijk.

### Eierstokkanker

Elk jaar worden ongeveer 800 vrouwen in België door eierstokkanker getroffen<sup>41</sup>. Het sterftecijfer is hoog door de diepe anatomische ligging, waardoor de diagnose meestal te laat komt. Patiënten hervallen heel vaak en dat is dikwijls fataal<sup>42</sup>. Genetische afwijkingen (mutaties) in de tumor kunnen de respons op de behandeling beïnvloeden<sup>43</sup>.

In 2021 werd in België een nieuw geneesmiddel terugbetaald dat een grote meerwaarde betekent voor de onderhoudsbehandeling van eierstokkanker in een gevorderd stadium. Het is het eerste geneesmiddel dat het risico op herval of overlijden beduidend vermindert bij vrouwen met gevorderde eierstokkanker die op eerstelijnschemotherapie reageren, ongeacht hun mutatiestatus<sup>44</sup>. Een follow-up gedurende 3,5 jaar laat zien dat dit geneesmiddel in vergelijking met een placebo 34 % minder risico op herval of verergering biedt<sup>45</sup>. Het zorgt eveneens voor een globaal hogere overlevingskans, met een overlevingskans van 24 maanden van 84 % tegenover 77 % in de placebogroep<sup>46</sup>.

Het geneesmiddel wordt eenmaal per dag oraal toegediend, wat voor de patiënt weinig belastend is<sup>47</sup>. Bovendien zorgt een gepersonaliseerde startdosis op basis van het lichaamsgewicht en het aantal bloedplaatjes voor minder hematologische bijwerkingen<sup>48</sup>.

## Acute hepatische porfyrie

Acute hepatische porfyrie (AHP) is een heel zeldzame erfelijke aandoening die veroorzaakt wordt door genetische mutaties in de biosynthese van heem<sup>49</sup>. Typisch voor AHP zijn acute neuroviscerale aanvallen die gepaard gaan met hevige en diffuse buikpijn. Deze aanvallen kunnen potentieel dodelijk zijn en tot een spoedopname leiden. Deze aanvallen zijn ook vaak de oorzaak van chronische symptomen die een negatieve impact hebben op het dagelijks functioneren en de levenskwaliteit van de patiënten<sup>50</sup>.

RNA-interferentie, ontdekt in 1998 en bekroond met de Nobelprijs voor geneeskunde in 2006, biedt ongekende mogelijkheden voor behandelingen via het mechanisme van het uitschakelen van genen. Het is op dit werkingsmechanisme dat een nieuwe AHP-behandeling is gebaseerd die sinds 2021 wordt terugbetaald en de tweede vertegenwoordiger van deze nieuwe klasse van geneesmiddelen is<sup>51</sup>. Door het gen bij de oorsprong van de ziekte aan te pakken, kan deze behandeling AHP-aanvallen zo goed als volledig onderdrukken<sup>52</sup>. Voordien slaagde geen enkele farmaceutische behandeling erin om aanvallen te voorkomen en was er geen effect op de andere chronische symptomen.

AHP-aanvallen, en de bijhorende ernstige invaliditeit, brengen enerzijds aanzienlijke overheidskosten met zich mee, zowel op het niveau van de gezondheidszorg als op economisch niveau (werkloosheidsuitkeringen, invaliditeit, enz.). Anderzijds zorgen ze door de impact op de arbeidstijd voor minder belastinginkomsten. Het tegengaan van AHP-aanvallen kan zo een besparing van ongeveer 1.700.000 euro per persoon opleveren<sup>53</sup>.

## Erfelijke retinale dystrofie door mutaties van het RPE65-gen

Retinale dystrofie door mutaties in het RPE65-gen is een zeldzame erfelijke aandoening van het netvlies die in België bij naar schatting 40 patiënten voorkomt. Het RPE65-gen zorgt voor het aanmaken van all-trans-retinylisomerase, een enzym dat noodzakelijk is voor de normale werking van netvliescellen. Een mutatie in beide kopieën van het gen leidt tot een langzame achteruitgang van het gezichtsvermogen.

Patiënten krijgen hoe langer hoe meer problemen om obstakels uit de weg te gaan, met name bij weinig licht. Dit heeft een belangrijke impact op hun levenskwaliteit, mentale gezondheid en ontwikkelingsmogelijkheden<sup>54</sup>. Veel patiënten verliezen hun zicht vóór de leeftijd van 16 jaar. De meerderheid is volledig blind voor ze 40 worden<sup>55</sup>.

De genterapie die sinds 2021 wordt terugbetaald voor kinderen en volwassenen bestaat uit een virus dat normale kopieën van het RPE65-gen bevat. Via een eenmalige injectie in het oog geeft dit geneesmiddel het RPE65-gen af in de cellen van het netvlies zodat deze het ontbrekende enzym kunnen aanmaken. Dit helpt de cellen in het netvlies beter te functioneren en vertraagt de voortgang van de ziekte. Enkel patiënten met voldoende levensvatbare netvliescellen komen hiervoor in aanmerking<sup>56, 57</sup>. Het gezichtsvermogen herstelt vrij snel na de ingreep en is langdurig beschermd tegen opnieuw een verslechtering<sup>58</sup>.

*"Voor het eerst krijgen mensen met een erfelijke netvlies-aandoening toegang tot een therapie die hen beschermt tegen blindheid. Vandaag gaat het om een kleine groep patiënten maar dit is een belangrijke eerste stap voor mensen met erfelijke oog-aandoeningen."*

*Prof. Bart Leroy, Medisch  
diensthoofd Oogheelkunde van UZ Gent*

## Spinale musculaire atrofie

In Europa worden elk jaar ongeveer 550 tot 600 kinderen met spinale musculaire atrofie (SMA) geboren. In België zijn er dat een tiental. SMA is een zeldzame, verwoestende genetische ziekte die leidt tot progressieve spierzwakte en verlamming. Wordt de ziekte niet behandeld, dan kan SMA in de meest ernstige vormen leiden tot permanente beademing of sterfte in 90 % van de gevallen voor de leeftijd van twee jaar<sup>59, 60</sup>.

SMA wordt veroorzaakt door een gebrek aan een functioneel SMN1-gen. Dit leidt tot een progressief en onomkeerbaar verlies van motorische neuronen, waardoor de motorische functies worden aangetast<sup>61,62</sup>.

Sinds december 2021 hebben artsen in België de kans om SMA-patiënten die in aanmerking komen, met een eenmalige therapie te behandelen in plaats van een levenslange behandeling. Dit is een belangrijke mijlpaal voor patiënten. Wanneer deze behandeling zo vroeg mogelijk wordt toegediend, kan ze motorische functies zoals zitten, staan, lopen en ook slikken en ademen verbeteren.

De gentherapie vervangt de functie van het ontbrekende of niet-werkende SMN1-gen en zorgt voor aanzienlijke klinische vooruitgang. Ook de levenskwaliteit van patiënten gaat erop vooruit. Dit was ongezien in de natuurlijke geschiedenis van de ziekte en houdt op vandaag, meer dan vijf jaar na de toediening, aan<sup>63</sup>.

### Anemie door $\beta$ -thalassemia of myelodysplastisch syndroom

Bloedarmoede of anemie ontstaat wanneer de aanmaak van rode bloedcellen verstoord is. Anemie komt onder andere voor bij de zeldzame erfelijke genetische aandoening  $\beta$ -thalassemia en bij de veelal ongeneeslijke hematologische kanker myelodysplastisch syndroom (MDS). De symptomen van anemie zijn uiteenlopend en kunnen gaan van vermoeidheid en kortademigheid tot uiteindelijk hartfalen.

Het toedienen van rode bloedcellen via bloedtransfusie speelt een belangrijke rol in de behandeling van patiënten met anemie als gevolg van  $\beta$ -thalassemia en MDS. Bloedtransfusies brengen evenwel diverse uitdagingen voor patiënten en zorgverleners met zich mee. Zo moeten patiënten meerdere uren in het ziekenhuis doorbrengen tijdens de toediening van het bloed. Bij regelmatige transfusies treden vaak ook complicaties op, zoals hart- en leverziekten als gevolg van te hoge ijzergehalten, of infecties en transfusiereacties die levensbedreigend kunnen zijn<sup>64</sup>.

Sinds 2021 is er een geneesmiddel beschikbaar dat de nood aan transfusies kan verminderen bij patiënten met anemie gerelateerd aan  $\beta$ -thalassemia en MDS. Het nieuwe geneesmiddel bevordert de aanmaak van rode bloedcellen in het beenmerg. Hierdoor verminderen de symptomen, daalt de nood aan bloedtransfusies en neemt het risico op complicaties ten gevolge van de transfusies af<sup>65,66</sup>.

### Griepvaccinatie

Elk jaar worden gemiddeld een half miljoen mensen in België getroffen door griep. Gemiddeld één op 1.000 grieppatiënten krijgt complicaties waardoor ze in het ziekenhuis moeten worden opgenomen. Meer dan 90 % van de sterfte betreft 65-plussers<sup>67</sup>. Deze oudere volwassenen zijn vaak nog professioneel actief, oefenen hobby's uit en ondersteunen gezinnen en onze maatschappij via vrijwilligerswerk, zorg en mentorschap. Al deze rollen zijn van grote waarde voor onze samenleving en economie.

Vandaag zijn er standaarddosis quadrivalente vaccins op de markt (SD). Hoewel ze effectief zijn, is de immunrespons op SD-griepvaccins minder optimaal bij volwassenen van 65 jaar en ouder in vergelijking met gezonde jongvolwassenen<sup>68</sup>. Een strategie om de bescherming tegen griep bij 65-plussers te verbeteren, is het aanpassen van de antigeendosis<sup>69</sup>.

Het nieuwe vaccin bevat vier keer de hoeveelheid antigenen van de andere SD-vaccins die op de markt zijn. In een gecontroleerde, gerandomiseerde klinische studie is aangetoond dat de klinische werkzaamheid beter is dan van het griepvaccin aan de standaarddosis voor de preventie van de biologisch bevestigde griep bij 65-plussers<sup>70</sup>. Er is eveneens een vermindering of vermindering van cardiorespiratoire comorbiditeiten en sterfte<sup>71</sup>.



## Osteoporose

Osteoporose is een veel voorkomende, chronisch progressieve ziekte. Ze wordt gekenmerkt door een lage botmassa en een achteruitgaan van de architectuur van het bot, wat een groter risico op breuken met zich meebrengt. Het botverlies bij vrouwen wordt tijdens en na de menopauze versneld door oestrogeentekort. Men schat dat er in 2019 in de Europese Unie zowat 4,3 miljoen nieuwe botbreuken waren als gevolg van broosheid. Dit betekent 11.705 breuken per dag of 487 per uur. Breuken die het gevolg zijn van osteoporose hebben een negatieve impact op de levenskwaliteit van patiënten en dragen ook bij tot een verhoogde morbiditeit en mortaliteit. Het risico op breuken neemt exponentieel toe met de leeftijd. Osteoporose is dan ook een belangrijk probleem van de volksgezondheid in ontwikkelde landen, waar de bevolking steeds ouder wordt. In België wordt slechts 34 % van de patiënten behandeld<sup>72</sup>.

Dankzij een beter inzicht in de werking van botregulering kon een nieuw geneesmiddel worden ontwikkeld dat de botvorming stimuleert en de botafbraak vermindert. Doel is het behandelen van ernstige osteoporose bij vrouwen in de postmenopauze met een hoog risico op breuken. Uit klinische studies na drie jaar blijkt dat deze nieuwe gerichte behandeling zorgt voor een duidelijke toename van de botdichtheid en een verminderd risico op breuken, naast het verbeteren van de levenskwaliteit van de patiënten<sup>73,74,75</sup>.

*"Er is nood aan innovatieve osteoporose-medicatie die het risico op breuken bij patiënten met een dreigend breukrisico sterk en snel vermindert en die de hoge socio-economische last van osteoporotische breuken zal verminderen."*

*Dr Evelien Gielen - Professor Gerontologie en Geriatrie in UZ Leuven en voorzitter van de Belgian Bone Club*

## Migraine

Migraine heeft een zware impact, zowel op het gezinsleven als op het sociale en beroepsleven. In België geeft 45 % van de migrainepatiënten aan dat ze gezins- of sociale uitstappen moeten afzeggen<sup>76</sup> en elk jaar gaan meer dan 1.650.000 werkdagen verloren omwille van migraine<sup>77, 78, 79</sup>. Sinds medio 2021 is de klasse van antilichamen tegen Calcitonin Gene-Related Peptide (CGRP) beschikbaar voor Belgische patiënten om migraine te voorkomen.

Prof. dr Jan Versijpt (Kliniekhoofd Neurologie, UZ Brussel) en Mik Ver Berne van de hoofdpijnvereniging Hoofd-Stuk hebben het over "een complete verandering in het leven van patiënten en neurologen". Het effect in het dagelijkse leven is nog opvallender dan wat klinische studies voorspelden. Niet alleen neemt het aantal dagen met hoofdpijn sterk af ten opzichte van de uitgangswaarden, we zien ook een vermindering van de intensiteit van de hoofdpijn, van de scores voor angst en depressie die vaak bij migraine voorkomen, en van het gebruik van pijnstillers. Misschien nog belangrijker voor het leven van de patiënt, is de merkbare verbetering van het dagelijks functioneren (MIDAS, Migraine Disability Assessment) en van de levenskwaliteit<sup>80, 81, 82</sup>.

*"Ik had schrik om sociale activiteiten met familie en vrienden in te plannen. Ik leefde steeds met de schrik dat ik zou moeten afzeggen."*

*Els, Patiënt*

*"Ik heb jaren geleden mijn studie moeten afbreken omdat ik teveel last had van migraine. Hierdoor heb ik steeds de indruk gehad dat ik niet mijn volle potentie bereikt heb. Indien ik toen die medicatie had, zou het anders gegaan zijn."*

*Annelies, Patiënt*

*"Deze terugbetalingen zullen het leven veranderen van duizenden mensen van wie het dagelijkse leven wordt beïnvloed door deze invaliderende aandoening." Minister Vandenbroucke noemt het "een groot voordeel voor de levenskwaliteit van de persoon in kwestie maar ook voor de samenleving, aangezien migraine vaak leidt tot werkverzuim."*

*Minister Frank Vandenbroucke, juni 2021<sup>83</sup>*

## Pediatriesch Hodgkinlymfoom

PD-1/PD-L1-remmers kunnen de werking van immuuncellen in de tumor micro-omgeving herstellen door de interactie tussen PD-1 en zijn bindingspartner te remmen. Daardoor krijg je een versterkte immuunrespons tegen de tumor<sup>84,85</sup>.

In 2021 werd de eerste PD-1/PD-L1-remmer goedgekeurd voor gebruik bij een pediatrische indicatie, bij patiënten vanaf drie jaar met de klassieke vorm van Hodgkinlymfoom<sup>86</sup>. Dit is een hematologische kanker<sup>87</sup>. Het merendeel van de patiënten met het klassiek Hodgkinlymfoom kunnen de ziekte op lange termijn onder controle houden door eerstelijnschemotherapie, maar sommige patiënten hervallen toch of reageren niet op de eerstelijnsbehandeling. Voor deze patiënten is de reddingsbehandeling zwaar. Als deze ook mislukt, is de prognose zeer ongunstig omdat de overblijvende behandelingsopties niet voldoen en extra bijwerkingen hebben<sup>88</sup>.

Patiënten die met anti-PD-1 behandeld zijn, hebben in vergelijking met de standaardbehandeling een grotere overlevingskans zonder dat de kanker erger wordt. Ook hun levenskwaliteit verbetert<sup>89</sup>.

Hoewel slechts weinig pediatrische patiënten klassiek Hodgkinlymfoom hebben, betekent de goedkeuring van de PD-1/PD-L1-remmer bij deze patiënten die hervallen of niet op de herstelbehandeling reageren, een belangrijke mijlpaal in de immunotherapie en opent dit perspectief in de strijd tegen pediatrische kankers.

## NTRK-genfusie gedreven kanker

Sinds 2021 wordt in België een nieuw geneesmiddel terugbetaald voor de behandeling van NTRK-genfusie (neurotrofe tyrosine receptor kinase) gedreven kanker. Omdat NTRK-genfusies weinig voorkomen, is NTRK-genfusie gedreven kanker een zeldzame ziekte met een hoge medische nood. De ziekte wordt bepaald door een specifieke genverandering, onafhankelijk van het tumortype die dus overal in het lichaam kan voorkomen, zowel bij kinderen als volwassenen<sup>90,91</sup>.

De nieuwe behandeling blokkeert de werking van de TRK-fusie-eiwitten en kan zo de groei van de kanker, onafhankelijk van de plaats in het lichaam, vertragen of stoppen. Mogelijk helpt het geneesmiddel ook om de tumor te verkleinen<sup>92</sup>. Het is het eerste geneesmiddel waarvoor een tumoragnostische indicatie, dat wil zeggen onafhankelijk van het tumortype, werd goedgekeurd.

In de klinische studies werd een snelle, doeltreffende en duurzame respons aangetoond, met een gunstig veiligheidsprofiel en een belangrijke impact op de levenskwaliteit van de patiënt<sup>93</sup>. Het is bovendien een orale behandeling: patiënten kunnen deze gewoon thuis innemen en hoeven dus niet naar het ziekenhuis, wat vaak wel het geval is met de huidige behandelingen zoals chemotherapie. Deze doelgerichte therapie heeft dan ook een grote impact op het dagelijkse leven van de patiënten en hun omgeving, en op het gezondheidszorgbudget.



## Diffuus grootcellig B-cellymfoom

Diffuus grootcellig B-cellymfoom (DLBCL) is een agressief type lymfeklierkanker en treft elk jaar ruim 850 Belgische patiënten<sup>94</sup>. Ongeveer twee op drie DLBCL-patiënten kunnen in eerste lijn worden genezen met chemo-immunotherapie, maar in geval van resistentie of herval, leidt DLBCL tot een snelle progressieve achteruitgang van de gezondheidstoestand en een ongunstige prognose<sup>95</sup>.

Sinds enkele jaren wordt in België een nieuwe vorm van immuuntherapie terugbetaald die DLBCL-patiënten perspectief biedt op een langere overleving en zelfs een reële kans op genezing. Bij deze nieuwe vorm van therapie, de CAR-T-celtherapie, worden eerst T-cellen uit het bloed van de patiënt geïsoleerd om uitgerust te worden met een speciale antenne of CAR (Chimere AntigenReceptor). Deze CAR kan de lymfeklierkankercellen herkennen en aanvallen. De T-cellen worden daarna weer aan de patiënt toegediend. Op die manier wordt het eigen immuunsysteem van de patiënt aangepast om zich tegen de kankercellen te richten.

Voor de nieuw terugbetaalde indicatie, als derdelijnsbehandeling voor refractaire of recidiverende DLBCL, blijkt uit klinische studies dat de CAR-T-celtherapie een duidelijke verbetering betekent: daar waar de prognose na twee eerdere behandelingslijnen vroeger erg ongunstig was, met een mediane overleving van slechts 6,3 maanden<sup>96</sup>, kon voor CAR-T-celtherapie worden aangetoond dat ruim 42 % van de patiënten na vijf jaar nog steeds in leven was en dat 92 % van deze patiënten nadien zelfs geen nieuwe kankerbehandeling meer nodig had, wat een potentiële genezing suggereert<sup>97</sup>.

*"Alles te samen geeft dit heel veel hoop voor mijn papa, voor ons als familie maar ook voor andere patiënten die in eenzelfde verhaal zitten."*

*Louise De Koninck, dochter van Constant De Koninck, DLBCL patiënt*

De Lazarustherapie



Op basis hiervan is CAR-T-celtherapie op korte tijd uitgegroeid tot de nieuwe standaardzorg binnen deze indicatie. De werkzaamheid en veiligheid binnen andere types van lymfeklierkanker en bloedkanker worden verder onderzocht.

## Mucoviscidose

Mucoviscidose, ook wel taaislijmziekte genoemd, is een zeldzame, genetische, multiorgaan aandoening<sup>98</sup>. In België leven ongeveer 1.350 mensen met mucoviscidose.

Mucoviscidose wordt veroorzaakt door een fout in het CTR-gen (CTR staat voor cystic fibrosis transmembrane conductance regulator). Dit gen codeert voor het CFTR-eiwit dat belangrijk is voor het regelen van de waterhuishouding in het lichaam. Het niet of slecht functioneren van het CFTR-eiwit leidt tot de productie van zweet met een hoge zoutconcentratie en van slijmen in het lichaam die erg dik en taai zijn<sup>99</sup>.

Mucoviscidose start al van bij de geboorte en kan leiden tot onder meer longschade, problemen met de pancreas, spijsvertering en voortplanting. Mucoviscidose heeft een aanzienlijke impact op de levenskwaliteit van de patiënt en leidt vaak tot vroegtijdig overlijden<sup>100</sup>.

Tot voor kort focuste de standaardbehandeling voor Belgische mucopatiënten op het bestrijden van symptomen. De nieuw terugbetaalde behandelingen richten zich op de onderliggende oorzaak van de ziekte en verbeteren de hoeveelheid en/of kwaliteit van het CFTR-eiwit in het lichaam<sup>101</sup>.

Deze behandelingen worden in verband gebracht met verbeteringen van de longfunctie, de Body Mass Index, het aantal longaanvallen en de levenskwaliteit. Dankzij deze behandelingen kunnen patiënten eenvoudige handelingen doen die de meeste mensen als vanzelfsprekend beschouwen: het naar bed dragen van hun kind bijvoorbeeld, of een kilometer lopen zonder te stoppen om te hoesten<sup>102</sup>.

Deze behandelingen worden in België sinds 2021 terugbetaald voor een aanzienlijke groep patiënten, voor sommigen al vanaf de leeftijd van twee jaar.



## Kankergeneesmiddelen brengen hoop

Veel klinische studies in België hebben betrekking op kankergeneesmiddelen en ook de overgrote meerderheid van de in 2021 nieuw terugbetaalde geneesmiddelen zijn kankergeneesmiddelen. Dat is niet verwonderlijk want kanker is een belangrijke doodsoorzaak. **Gelukkig brengen de nieuwe kankergeneesmiddelen hoop, waarover niet alleen in vakbladen wordt bericht maar soms ook in de gewone pers.**

Dit gebeurde bijvoorbeeld naar aanleiding van de 27ste editie van de jaarlijkse Kinderkankerdag op 2 oktober 2022, een organisatie van Stichting tegen Kanker, de vzw Nationale Kinderkankerdag en het dierenpark Planckendael<sup>103</sup>. Bijna 250 kinderen konden met hun familie genieten van een dag zonder zorgen na een vreselijke diagnose die nog veel te veel kinderen treft. Gelukkig is kanker bij kinderen (jonger dan 15 jaar) in België eerder zeldzaam (minder dan 1 % van alle kankers). In 2019 werden 330 nieuwe casussen geregistreerd (Stichting Kankerregister). De meest frequente zijn leukemie, lymfomen en tumoren van het centraal zenuwstelsel. Zij vormen samen meer dan de helft van alle kankers bij kinderen.

Doorheen de jaren zijn de zorg en omkadering van deze kinderen sterk verbeterd. Ook is het genezingscijfer de voorbije 40 jaar opvallend verbeterd, mede dankzij innovatie in de geneesmiddelenbehandeling. Gemiddeld geneest 80 % van alle kinderen met kanker, tegenover minder dan 50 % in de jaren 70. Er is dus ruimte voor hoop!

Ook het team van Prof. Dr. Bart Neyns van de VUB haalde de pers<sup>104</sup> met de resultaten van innovatieve immuuntherapiegeneesmiddelen bij vergevorderde en uitgezaaide huidkanker (melanomen) bij Belgische patiënten. Die resultaten zijn ronduit spectaculair: waar uitzaaiingen in fase 3 en 4 (de zwaarste diagnoses) vroeger altijd fataal waren wegens een gebrek aan behandelingen, is nu door toedoen van de innovatieve immuuntherapiegeneesmiddelen 29 % van de patiënten na vijf jaar nog steeds in leven, met een beperkte kans op herval. Zo is naar schatting van ongeveer 750 patiënten in België met vergevorderde en uitgezaaide huidkanker het leven gered sinds het gebruik van deze immuuntherapiegeneesmiddelen in 2010<sup>105</sup>.

Deze overlevingscijfers stemmen overeen met de resultaten uit de klinische studies van deze geneesmiddelen en met andere internationale studies. De studie werd uitgevoerd op basis van de resultaten van alle behandelde patiënten met fase 3 en 4-melanomen in UZ Brussel tussen mei 2010 en maart 2022. Deze uitkomsten zijn hoopgevend voor alle getroffen patiënten en een forse verbetering ten opzichte van de periode vóór deze geneesmiddelen werden geïntroduceerd.

### 3.1.2

## Beloftevolle (r)evoluties in de biofarmaceutische sector

### ATMP's

Gamechanger, doorbraak, revolutie: het zijn allemaal termen die geassocieerd worden met ATMP's. De naam geeft het zelf al aan: ATMP's of Advanced Therapy Medicinal Products liggen een heel stuk voor op de behandelingen die we nu kennen. Dit komt vooral omdat ATMP's focussen op de oorzaak van een ziekte, terwijl conventionele geneesmiddelen eerder de symptomen bestrijden. Dankzij gentherapie bijvoorbeeld kan een defect gen in bepaalde gevallen vervangen worden door een volledig intact gen. Dit verhoogt uiteraard de kans op effectieve genezing.

### Wat zijn ATMP's?

ATMP staat voor Advanced Therapy Medicinal Product. ATMP's verschillen duidelijk van traditionele geneesmiddelen in de manier waarop ze worden gemaakt en toegediend, en in de voordelen die ze bieden. In grote lijnen zijn er drie categorieën van ATMP's:

- Bij **celtherapie** worden extern gekweekte lichaamscellen gebruikt om de patiënt te genezen of om de verstoorde functie van een bepaald orgaan te herstellen.
- **Weefseltherapie** gaat nog verder: cellen worden samengebracht om een volledig nieuw stukje weefsel te reproduceren.
- Bij **gentherapie** wordt de functie van een defect gen van een patiënt hersteld door de toediening van een gezonde kopie van het gen.

Niet alleen zorgen ATMP's bij bepaalde ziektes voor hogere genezingskansen, ze brengen ook meer comfort voor de patiënt met zich mee. De toediening hoeft immers vaak maar eenmaal. Voor patiënten die anders bijvoorbeeld wekelijks voor hun behandeling naar het ziekenhuis moeten, heeft dit een bijzonder positieve impact op hun dagelijkse leven en dat van hun familie en vrienden. Daarbij komt dat de bijwerkingen doorgaans veel minder zijn dan bij traditionele behandelingen. Dit alles maakt dat patiënten dankzij ATMP's vaak terug een normaal leven kunnen hebben en opnieuw aan het werk of naar school kunnen.

**Die voordelen vertalen zich ook in de toename van de zogenaamde QALY's van deze therapieën in vergelijking met de "klassieke" therapieën.** QALY staat voor Quality-Adjusted Life Year, een extra levensjaar in goede gezondheid. Een onderzoek naar de geneesmiddelen die beschikbaar kwamen tussen 1992 en 2017 toonde aan dat cel- en gentherapieën een gemiddelde QALY-winst van 5,78 opleverden tegenover 0,49 en 0,43 QALY's voor respectievelijk chemische (kleine) en biologische moleculen<sup>106,107</sup>.

Een andere studie over de gentherapieën die momenteel in ontwikkeling zijn, schat dat deze in de periode 2020 tot 2034 gemiddeld 5,12 QALY's zullen opleveren<sup>108</sup>. Deze cijfers illustreren het grote potentieel van gentherapieën inzake gezondheidswinsten in vergelijking met chronische behandelingen.

Op langere termijn kunnen ATMP's ook voor het gezondheidszorgsysteem een besparing betekenen omdat ze maar eenmalig moeten worden toegediend. Daartegenover staat wel dat ATMP's op vandaag duur zijn. Het maakproces is immers niet alleen heel innovatief maar ook bijzonder complex en volledig afgestemd op de individuele patiënt. Dat brengt onvermijdelijk een hoge productiekost met zich mee.

Toegang tot en terugbetaling van ATMP's zijn op vandaag niet evident omdat ons huidige gezondheidszorgsysteem er niet op afgestemd is. Net het levenslange effect van ATMP's, wat voor patiënt en maatschappij het verschil maakt, zorgt hierbij voor problemen. De hoge eenmalige kost is een pijnpunt en moet worden afgewogen tegenover langetermijnbesparingen. Bovendien is het volledige (levenslange) effect van een ATMP bijna onmogelijk in een klinische studie te vatten, wat een struikelblok vormt bij de toegang tot en terugbetaling van ATMP's.

**pharma.be heeft daarom een denktank opgericht om het pad voor ATMP's te helpen effenen** (zie kader). Want we zijn ervan overtuigd dat we nog maar aan het begin van de revolutie staan. Binnen de EU zijn momenteel 16 ATMP's goedgekeurd. Deze zijn vooral gericht op zeldzame ziektes waarvoor vandaag weinig of geen behandelingen bestaan. We verwachten evenwel dat er binnenkort 10 tot 20 per jaar groen licht zullen krijgen, óók voor heel courante ziektes. Want ook daar blijft de medische nood hoog. Voor diabetes bijvoorbeeld bestaan er heel wat geneesmiddelen die de ziekte onder controle houden maar de ziekte blijft nog altijd aanwezig. Afhankelijk van het type diabetes zou een gen- of celtherapie wél voor volledige genezing kunnen zorgen.



## Precisiegeneeskunde

ATMP's worden op maat van de individuele patiënt gemaakt en vormen zo een mooi voorbeeld van één van de meest opvallende en beloftevolle trends in de geneeskunde: de precisie- of de gepersonaliseerde geneeskunde. In 2021 maakten gepersonaliseerde geneesmiddelen al 35 % uit van het totaal aantal nieuwe geneesmiddelen die door de Federal Drug Administration (FDA) werden goedgekeurd. **De tijd van één type behandeling die heel breed wordt ingezet, lijkt dus stilaan voorbij. Behandelingen worden steeds gericht en worden zo logischerwijze ook doeltreffender.**

Op vandaag beperken gepersonaliseerde geneesmiddelen zich nog tot een relatief klein aantal ziektes. Vooral bij kankerbehandelingen worden ze al ingezet. Mét succes: ze zijn niet alleen doeltreffender dan conventionele geneesmiddelen, de bijwerkingen zijn vaak ook beperkter. Traditionele chemotherapie bijvoorbeeld doodt alle cellen die zich snel vermenigvuldigen, waaronder ook gezonde cellen. Dit brengt ingrijpende bijwerkingen met zich mee.

De therapie slaat ook niet bij alle patiënten aan, want kankercellen zijn niet altijd gevoelig voor chemotherapie. In de precisiegeneeskunde gaan artsen bij de individuele patiënt eerst op zoek naar heel specifieke kenmerken van de kanker, bijvoorbeeld via een stukje tumorweefsel. Op basis daarvan wordt dan een behandeling op maat ingezet. Op die manier kunnen de bijwerkingen worden geminimaliseerd én de slaagkansen gemaximaliseerd.

**Op langere termijn zullen steeds meer ziektes voor dit soort maatwerk in aanmerking komen.**

Er lopen vandaag trouwens al honderden klinische studies rond dit soort innovatieve behandelingen. We hebben dus nog maar het topje van de ijsberg blootgelegd. Net als bij ATMP's moeten we ook hier zorgen dat ons gezondheidszorgsysteem klaar is om het enorme potentieel van precisiegeneeskunde te ondersteunen, zodat patiënten in België er vlot toegang toe krijgen.

## ATMP's: pharma.be bereidt de toekomst voor samen met de andere stakeholders

De leden van pharma.be zijn actief in de ontwikkeling van ATMP's, zowel in België als internationaal. Ze willen deze innoverende geneesmiddelen graag op een brede, duurzame en efficiënte manier bij de patiënten krijgen. Ons huidige gezondheidszorgsysteem is evenwel nog niet afgestemd op deze nieuwe transformatieve en vaak eenmalige behandelingen. Om dit te bereiken is een open dialoog met alle stakeholders nodig. De ATMP-denktank, opgericht in januari 2021, wil deze dialoog stimuleren en er actief aan bijdragen. Want enkel door een nauwe samenwerking kunnen we bergen verzetten voor patiënten, zodat zij kunnen genieten van deze nieuwe generatie veelbelovende behandelingen en technologieën.

**Tussen april en september 2021 organiseerde pharma.be 14 dialoogsessies met een grote groep Belgische stakeholders over de kansen en uitdagingen voor ATMP's in België.** De deelnemende stakeholders waren academici, beleidsmakers, het FAGG, het RIZIV, ziekenhuizen, patiëntenorganisaties, artsen, wetenschappelijke instellingen zoals Sciensa-no, ziekenfondsen en andere koepelorganisaties. Op basis van deze dialoog ontwikkelde pharma.be een *white paper* met duidelijke aanbevelingen over het regelgevende kader en de terugbetaling van ATMP's in België. Op basis van deze aanbevelingen ging pharma.be in 2022 opnieuw actief in dialoog met de relevante stakeholders om het belang van deze hervormingen te onderstrepen.

Een overzicht van onze aanbevelingen:

- We hebben een **modern reglementair kader** nodig, waarin België zijn positie als **pionier in klinische studies** behoudt.
- We moeten de procedures optimaliseren zodat de patiënten in België **sneller toegang** krijgen tot baanbrekende geneesmiddelen.
- Klinische en budgettaire onzekerheden kunnen aangepakt worden door ATMP's tijdelijk terug te betalen in het kader van **outcome-based overeenkomsten**. Daardoor kunnen we patiënten toegang geven tot ATMP's en tegelijk bijkomend bewijsmateriaal over de doeltreffendheid (outcomes) van de ATMP verzamelen. Omdat het gezondheidsresultaat van de patiënt centraal staat, heeft de overheid de mogelijkheid om enkel te betalen voor geneesmiddelen voor die patiënten voor wie ze doeltreffend zijn gebleken.
- Voor bepaalde ATMP's kan het spreiden van de hoge initiële investeringskosten over verscheidene jaren helpen om een piek in de uitgaven van het geneesmiddelenbudget te vermijden (**gespreide betalingen**).
- Sommige **evaluatiecriteria** in de Belgische terugbetalingsprocedure moeten worden aangepast als we de volledige klinische, economische en maatschappelijke waarde van ATMP's willen capteren.
- ATMP's vragen heel specifieke zorg. De toediening van sommige ATMP's zal dan ook gebeuren in een beperkt aantal gespecialiseerde centra in Europa. We moeten daarom de toegang tot **grensoverschrijdende zorg** voorbereiden voor ATMP's waarvoor er geen erkend centrum in België bestaat.

Raadpleeg hier  
de volledige paper



## 3.2 Een positieve impact op de economie

De unieke Belgische *biopharma valley* heeft spelers van wereldniveau en is toonaangevend in de ontwikkeling van revolutionaire geneesmiddelen en vaccins. **Naast meerwaarde voor patiënten, de zorgsector en de maatschappij, zorgt onze sterke biofarmaceutische sector ook voor een directe economische return en zelfs voor een positieve impact op de overheidsfinanciën.**

Zo zijn er op het vlak van tewerkstelling maar liefst 130.000 jobs aan de biofarmaceutische industrie gelinkt (directe, indirecte en afgeleide tewerkstelling). Ook op het gebied van export neemt de sector een belangrijke plaats in, met een aanzienlijke bijdrage aan de positieve handelsbalans van België. Daarnaast zorgen de enorme investeringen in O&O en klinische studies (zie hoger) voor een belangrijke bijdrage aan de Belgische kenniseconomie, die de basis vormt van onze welvaartsstaat.

### 3.2.1

#### De economische waarde van de biofarmaceutische industrie

##### TEWERKSTELLING

#### In België

**Dankzij de internationale koppositie van onze biofarmaceutische industrie zit de werkgelegenheid in de sector in België in de lift.**

Sinds 2015 steeg het aantal werknemers met ongeveer een vierde, tot 42.062 personen in 2021. Vooral in de laatste twee jaar zagen we een sterke groei.

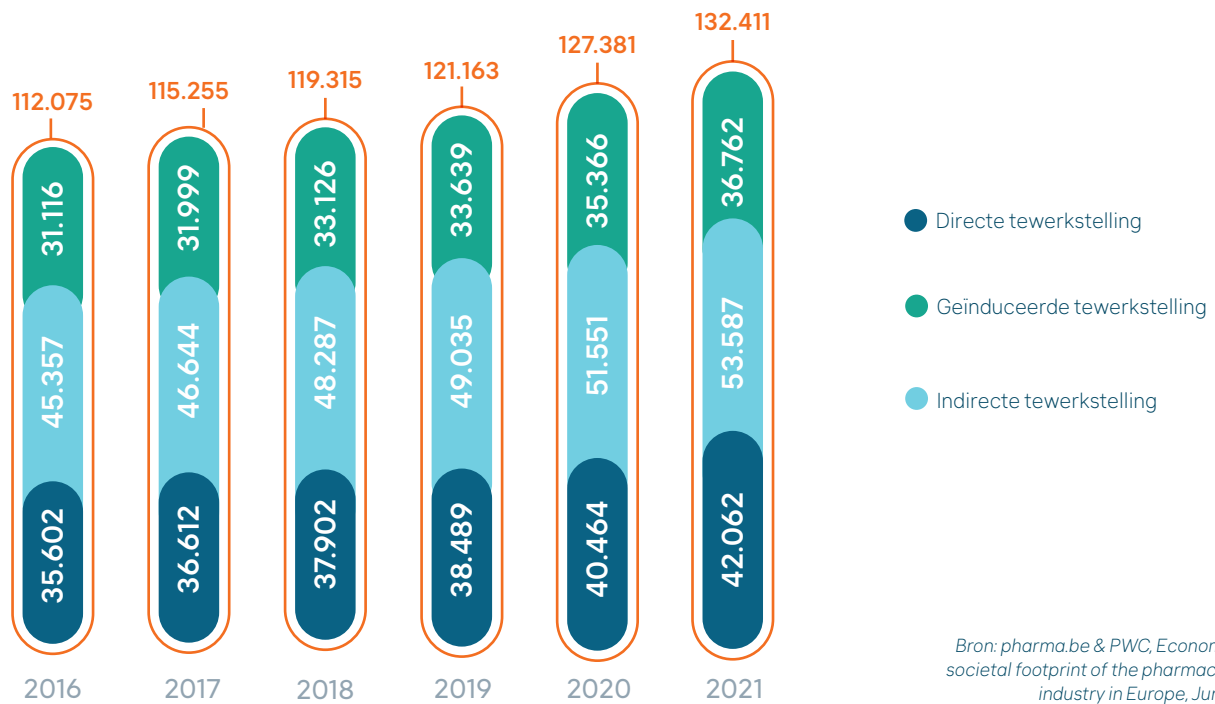
Deze groei is duidelijk groter dan in de totale verwerkende industrie, waar de tewerkstelling in dezelfde periode met slechts 3 % toeneemt. De biofarmaceutische industrie alleen al is in 2021 goed voor bijna 9 % van de werkgelegenheid in de verwerkende industrie in België.

De sector zorgt daarbovenop voor niet minder dan 53.587 indirecte en 36.762 geïnduceerde jobs. Voor elke arbeidsplaats in de Belgische biofarmaceutische industrie worden dus twee andere arbeidsplaatsen gecreëerd. Dit maakt dat de sector in totaal goed is voor meer dan 130.000 jobs.

#### In Europa

Plaats je deze cijfers in Europees perspectief, dan wordt het belang nog duidelijker: België staat op de derde plaats, zowel qua aandeel in de totale tewerkstelling, als qua aandeel in de tewerkstelling van de verwerkende industrie.





## Een illustratie van de indirecte tewerkstellingsimpact: het transport van geneesmiddelen

De geneesmiddelen die in België worden geproduceerd, moeten worden getransporteerd, vaak wereldwijd. België is tegelijk ook een hub voor de import van geneesmiddelen, die dan vaak vanuit België verder worden getransporteerd naar de rest van Europa. Dat transport van geneesmiddelen zorgt voor bijkomende, indirecte tewerkstelling die samengaat met de activiteiten van de biofarmaceutische sector in België.

Vorig jaar besteedden we aandacht aan het farmatransport en de bijhorende investeringen door Brussels Airport, Liege Airport en Port of Antwerp-Bruges.

Ook de logistieke groep H.Essers zet al sinds 2006 in op farma-logistieke activiteiten. Ze bouwde bij haar hoofdkwartier in Genk een gespecialiseerde logistieke cluster uit, pharma valley gedoopt. Deze werd in 2022 uitgebreid met een nieuwe overslagplaats, een investering van 20 miljoen euro, omdat het vervoer van geneesmiddelen elk jaar met gemiddeld 8 % groeit.

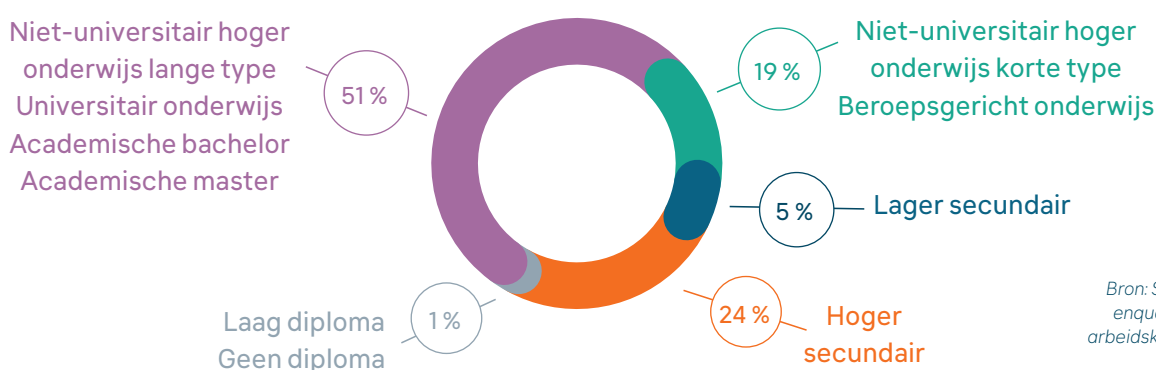
De farma-logistieke activiteiten van H.Essers gaan gepaard met een aanzienlijke tewerkstelling. In België gaat het om ongeveer 900 werknemers, een aantal dat in vijf jaar tijd verdubbeld is. Wat profiel betreft, gaat het om ongeveer een derde white collars (in o.a. relatiebeheer, operationeel management, planning, klantenservice en kwaliteitsbewaking), een derde blue collars (operatoren op de overslagplaats en in het magazijnbeheer) en een derde chauffeurs. Allemaal zijn ze getraind volgens de Europese Good Distribution Practice-richtlijnen die de kwaliteit van lifesciences- en healthcareproducten tijdens de distributie waarborgen. Vanaf 2024 staat er nog een uitbreiding van de pharma valley gepland waardoor de tewerkstelling nog eens met 200 werknemers zal toenemen.

## Een diverse sector

De sector zorgt niet alleen voor véél jobs maar ook voor heel uiteenlopende jobs. Het Belgische biofarmaceutische landschap is immers heel divers, van kleine start-ups en hoog-innovatieve biotech-bedrijven over middelgrote familiebedrijven en lokale dochters van multinationals tot grote multinationale productiebedrijven. Die diversiteit zie je ook in de tewerkstelling. De kmo's, in aantallen goed voor bijna 90 % van de markt, staan in voor zowat een vierde van de tewerkstelling binnen de sector.

**De bedrijven binnen de sector zijn divers, maar ook de profielen die de sector nodig heeft:** van profielen met bescheiden kwalificaties tot hooggeschoolde werknemers. Al ligt in deze kennisintensieve sector het aantal hoogopgeleide werknemers een pak hoger dan in andere sectoren, met ongeveer 70 % van de werknemers die beschikken over een diploma hoger onderwijs. Wat betreft de totale werkende bevolking is dit ongeveer de helft. Specifiek voor de totale verwerkende industrie komt dit uit op slechts 40 %, en voor de chemische industrie op ongeveer 55 %.

### Verdeling van de profielen in de biofarmaceutische sector in 2021



#### Aandeel vrouwen

%	Totaal	In management	In rvb	In onderzoek
2018	49	46	29	57
2019	49	47	35	57
2020	48	47	38	60
2021	51	48	46	63

Bron: pharma.be

#### Aandeel niet-Belgische werknemers

%	Totaal	In management	In rvb	In onderzoek
2018	8	15	21	10
2019	11	21	19	13
2020	14	28	25	16
2021	13	29	17	23

Bron: pharma.be

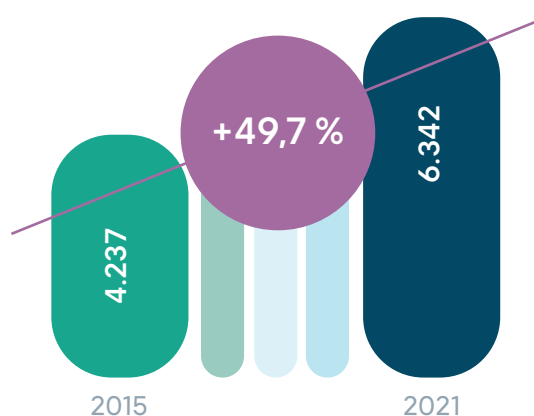
Op het vlak van **genderdiversiteit** kan de biofarmaceutische sector een relatief evenwichtig plaatje voorleggen. In 2021 steeg het aandeel vrouwelijke werknemers tot 51 %. Op het vlak van onderzoek zijn vrouwelijke onderzoekers zelfs ruim in de meerderheid, met 63 % in 2021. Ten opzichte van het vorige jaar zien we vooral een opvallende stijging van het aantal vrouwen in de raden van bestuur (rvb). De voorbije jaren was er al een inhaalbeweging ingezet. Deze was in 2021 nog uitgesprokener, met een stijging van het aandeel vrouwelijke bestuurders tot 46 % tegenover 38 % in 2020.

De sector is ook divers wat het aantal tewerkgestelde niet-Belgische werknemers betreft. Tussen 2018 en 2020 liep hun aandeel op van 8 % tot 14 %, om in 2021 te stabiliseren op 13 %. Ze zijn nog relatief sterker vertegenwoordigd in het management van biofarmaceutische bedrijven, met een aandeel dat is geëvolueerd van 15 % tot 29 %. Vorig jaar was een kwart van de leden van de raden van bestuur een niet-Belgische werknemer, maar dat is teruggevallen op 17 %. Omgekeerd is het aandeel niet-Belgische werknemers actief in het onderzoek nog verder en zelfs sterker toegenomen in 2021, tot 23 %.

## Een sterke basis

De sector kan in België rekenen op een **uitgebreide pool van gekwalificeerde arbeidskrachten**. Dit wordt mee mogelijk gemaakt door de aanwezigheid van 12 universiteiten die zorgen voor een sterke onderwijsbasis en een stabiele instroom van hooggekwalificeerde en zeer productieve arbeidskrachten. Een deel van deze hooggeschoolde werknemers is tewerkgesteld als onderzoekers in O&O. Sinds 2015 is deze groep met de helft toegenomen. Het totaal aantal onderzoekers komt daarmee op 6.342 te staan. Zij zijn de hoeksteen van de biofarmaceutische industrie en leveren een cruciale bijdrage aan het succes van de sector.

## Toename aantal onderzoekers in 4 jaar



Bron: pharma.be, bedrijven die lid zijn en fundamenteel onderzoek doen in België

## pharma.be denkt mee na over de uitdagingen rond talent

Door de sterk stijgende tewerkstelling in de sector én de technologische evoluties, wordt het een steeds grotere uitdaging voor biofarmaceutische bedrijven om het geschikte talent te vinden. Dat geldt overigens ook voor andere sectoren die vooral technische of wetenschappelijke profielen, de zogenaamde STEM-profielen<sup>109</sup>, nodig hebben zoals de chemische en IT-sector.

### pharma.be denkt daarom mee na over mogelijke manieren om die personeelsnoden in te vullen.

In het Observatorium voor de Farmaceutische Industrie, waarvan pharma.be deel uitmaakt samen met meerdere andere stakeholders, loopt er een studie rond het aantrekken en behouden van lokaal en internationaal talent. Lokaal stelt zich de vraag hoe we meer jongeren naar STEM-opleidingen kunnen begeleiden. Hoe maken we hen mobieler in ons ecosysteem en hoe stemmen we hun curricula beter af op technologische evoluties in de sector? Internationaal kijken we hoe we België aantrekkelijker kunnen maken voor buitenlands talent en hoe we dat talent hier kunnen houden.

Daarnaast focussen we uiteraard op levenslang leren binnen onze bedrijven: hoe kunnen we mensen langer actief houden en hoe kunnen we de samenwerking tussen academische platformen en onze bedrijven mogelijk en aantrekkelijker maken? Begin 2023 formuleert het Observatorium zijn aanbevelingen.

*"We zien allemaal dat de wereld snel en grondig verandert en daarom was het nog nooit zo belangrijk om multidisciplinair te werken. Daar moeten we allemaal mee aan de slag, in de bedrijfswereld maar vooral ook in het onderwijs. Zo zijn bijvoorbeeld IT en data science twee aparte opleidingen, die weinig met elkaar uitwisselen en communiceren. Daardoor krijgen studenten maar een deel van het verhaal, zonder de bredere context. De vraag is: 'Hoe maken we die opleidingen breder en relevanter zodat ze beter aansluiten bij de behoeften van de sterkhouders van de Belgische economie waaronder de biofarma sector?'"*

Sonja Willems, Voorzitter van het Observatorium voor de Farmaceutische Industrie



## MONDIALE EXPORT

### In België

De knowhow op het gebied van export, samen met de aanwezige infrastructuur en het hoge niveau van connectiviteit met de rest van Europa en de wereld, maken van België een aantrekkelijk land om in te investeren en om nieuwe activiteiten in te ontwikkelen. Dit zie je ook duidelijk terug in de uitstekende exportcijfers die de sector jaar na jaar kan voorleggen.

2021 was hierop geen uitzondering. Meer nog, door de cruciale rol die België speelde bij het ter beschikking stellen van COVID-19-vaccins, was het een jaar met een **uitzonderlijke groei van de export**. Waar de totale Belgische export na het zwakke coronajaar 2020 er met ongeveer een vierde op vooruitging, slaagde de farmaceutische sector erin om met meer dan de helft te groeien.

Biofarmaceutische producten vertegenwoordigden in 2021 bijna een vijfde van de totale Belgische export. De sector leverde hiermee meteen een uiterst belangrijke bijdrage aan de positieve handelsbalans van België, die een overschot vertoont van 14,3 miljard euro. De biofarmaceutische sector heeft het grootste overschot en draagt voor maar liefst 23,3 miljard euro bij. Zonder de sector zou België dus een negatieve handelsbalans moeten voorleggen. Dit bewijst dat de sector één van de steunpilaren van de Belgische economie is, tijdens en na de moeilijke COVID-19-periode.

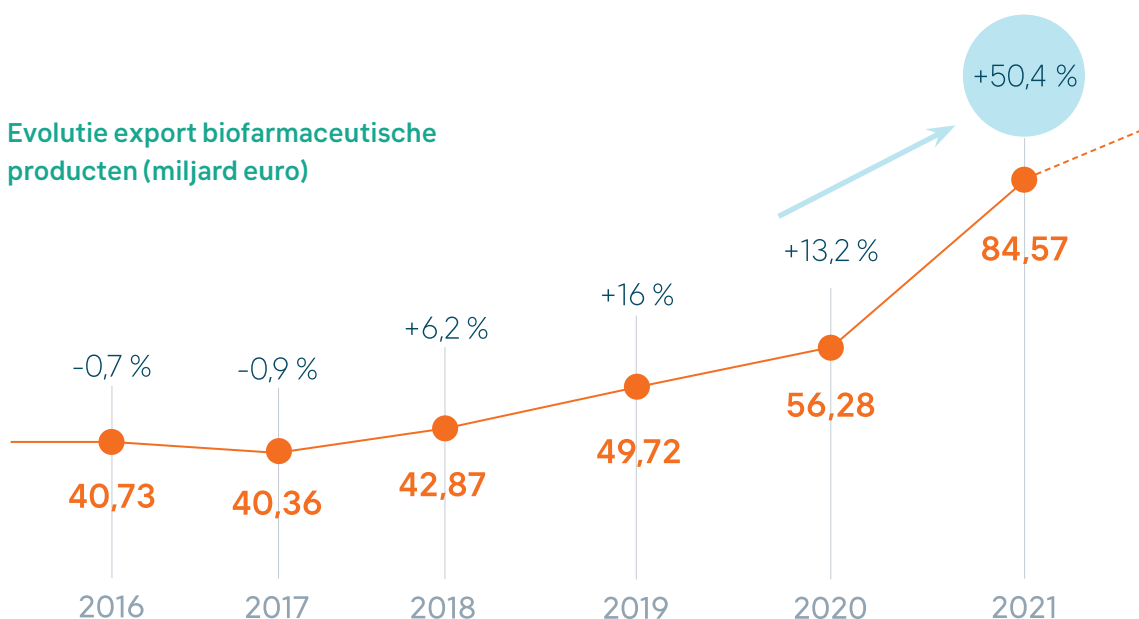


### Tegenover Europa en de wereld

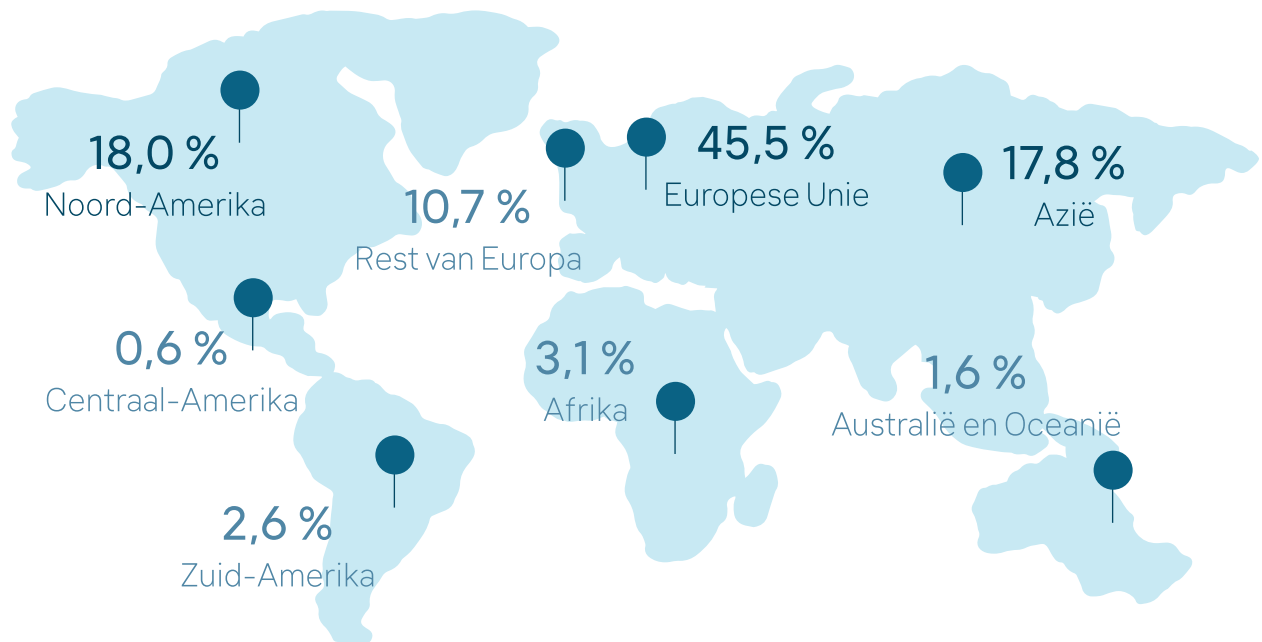
Ook in een globaal perspectief doet België het zeer goed. Op het vlak van totale export van biofarmaceutische producten, moet België binnen de EU enkel Duitsland laten voorgaan. Hou je rekening met het aantal inwoners, dan staat België ook op de tweede plaats, na Ierland. In totaal wordt bijna een vijfde van de totale EU farmaceutische export vanuit België verscheept. Duitsland is de belangrijkste handelspartner, met een aandeel van 17,5 %, gevolgd door de VS met 16 %.

België is duidelijk een internationale hub voor de export van biofarmaceutische producten en kan zo ook een rol vervullen op het gebied van de wereldwijde volksgezondheid. Dit werd extra duidelijk door de impact van België in de zoektocht naar een oplossing voor de COVID-19-crisis. Dankzij de aanwezigheid van sterk ontwikkelde farmaceutische productiefaciliteiten was België een kernspeler in de ontwikkeling en productie op grote schaal van vaccins. Dat zie je ook in de exportcijfers terugkeren.

Evolutie export biofarmaceutische producten (miljard euro)



Bron: NBB



## De biofarmaceutische sector laat al veel langer een mooi economisch groeitraject optekenen

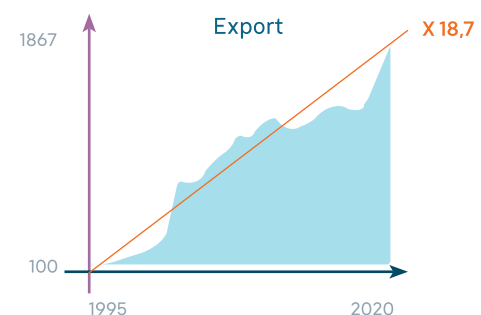
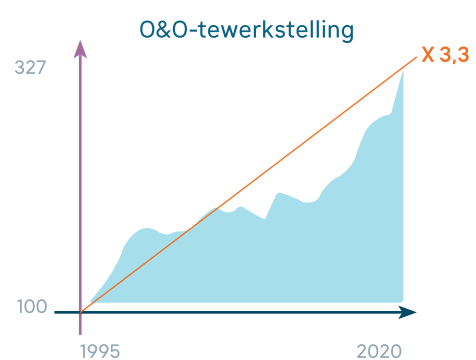
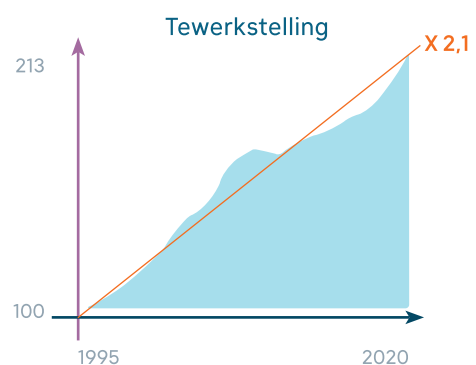
Delaatste jaren slaagt de biofarmaceutische sector erin om mooie resultaten neer te zetten. Maar dit is zeker geen nieuw gegeven.

De sector timmert al vele jaren succesvol aan de weg en neemt al lang een belangrijke plaats in het Belgische economische landschap in, zoals blijkt uit nevenstaande grafieken.

Op het vlak van tewerkstelling is er sprake van meer dan een verdubbeling. Bij de O&O-tewerkstelling gaat het zelfs over een factor 3. De sector realiseerde de grootste groei doorheen de jaren in export.

Er zijn weinig sectoren die zo'n uitzonderlijk rapport kunnen voorleggen. Het gaat ontegensprekelijk over een exceptioneel resultaat, dat duidelijk de evolutie aantoonde die België doorgemaakt heeft om tot de Europees belangrijke *biopharma valley* te komen die het vandaag is.

### Evolutie van de sector op 25 jaar



### 3.2.2

## Kosten-batenanalyse voor de Belgische overheid

De directe economische impact van een sterke biofarmaceutische sector in België is duidelijk. De aanwezigheid van de sector zorgt daarnaast ook voor een positieve impact op de overheidsfinanciën, zoals blijkt uit de volgende berekening die betrekking heeft op 2020.

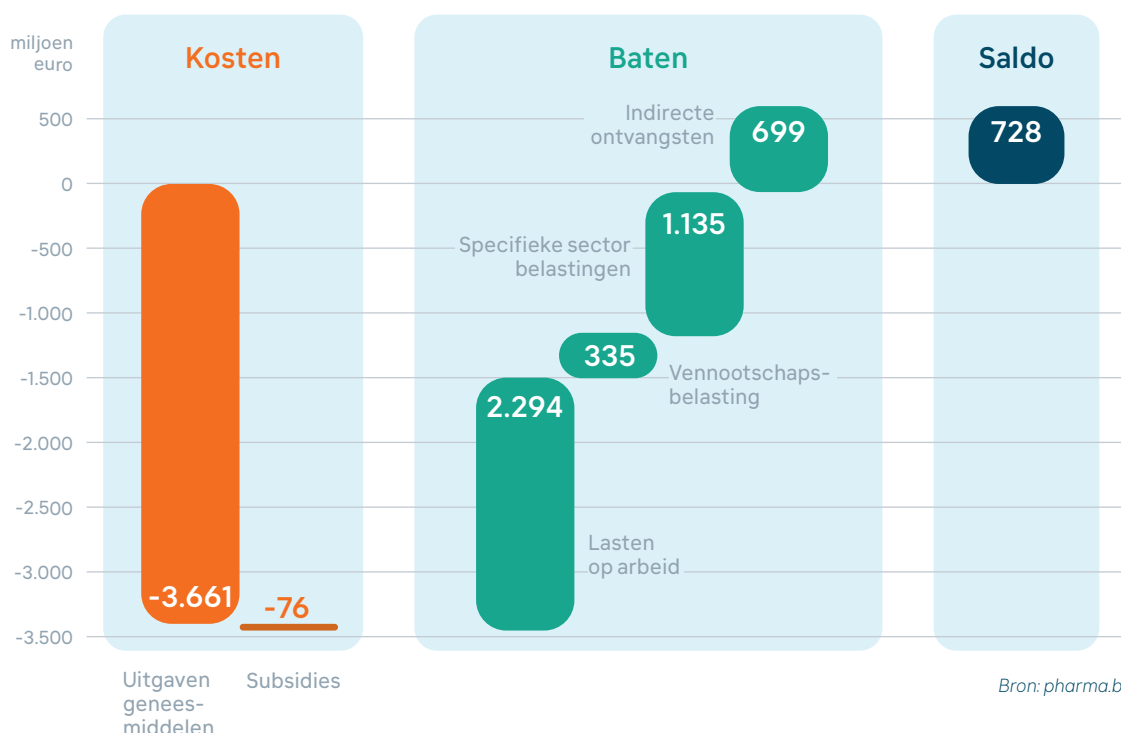
Om die kosten-batenanalyse te maken (zie ook bijlage 1), brengen we eerst de kosten voor de overheid voor geneesmiddelen in rekening. Deze kosten worden vergoed door het RIZIV en omvatten de uitgaven voor alle terugbetaalde geneesmiddelen. Ook de uitgaven door de overheid onder de vorm van subsidies voor de biofarmaceutische sector worden hier opgenomen. In totaal komen deze uitgaven uit op 3,74 miljard euro.

De aanwezigheid van de biofarmaceutische sector levert evenwel ook heel wat inkomsten op voor de overheid:

1. belastingen op arbeid, goed voor bijna 2,3 miljard euro
2. specifieke heffingen op de sector (zoals de omzetbelasting)
3. vennootschapsbelastingen
4. inkomsten gelinkt aan de economische keten die door de biofarmaceutische sector wordt gecreëerd

In totaal komen de inkomsten voor de overheid uit op 4,46 miljard euro.

### Kosten en baten van de biofarmaceutische sector voor de overheidsfinanciën



**Deze vergelijking tussen de uitgaven en inkomsten voor de overheid toont aan dat de bijdrage van de biofarmaceutische sector aan de inkomsten van ons land substantieel hoger ligt dan de uitgaven die België aan de sector besteedt.** Het surplus bedraagt ruim 700 miljoen euro. Een vergelijking met andere landen leert ons dat deze positie uniek is, en dat veel landen ons hierom benijden.



Hoe we het  
aanpakken



# 4.1 We nemen onze verantwoordelijkheid

## 4.1.1 Strikt ethisch

Tijdens het O&O-proces, maar ook later wanneer een geneesmiddel op de markt komt, werken biofarmaceutische bedrijven nauw samen met artsen en de gezondheidssector. Deze interacties zijn niet alleen legitiem, ze zijn ook noodzakelijk. Want als eerste contactpunt met de patiënt beschikken zorgverleners over een onschatbare expertise. Deze expertise is cruciaal voor de biofarmaceutische sector om steeds doeltreffendere behandelingen voor de patiënten te kunnen ontwikkelen.

Biofarmaceutische bedrijven hebben omgekeerd de verantwoordelijkheid om zorgverleners te informeren over nieuwe behandelingen zodat elke patiënt de best mogelijke behandeling kan krijgen. De bedrijven delen objectieve en wetenschappelijke informatie, in het bijzonder informatie over de indicaties, verwachte effecten en mogelijke bijwerkingen. Dit zorgt voor een juist gebruik van geneesmiddelen.

**De interacties tussen zorgverleners en de biofarmaceutische sector zijn bijzonder goed door de wet geregeld** om de onafhankelijkheid van de partijen te waarborgen. Interacties vertrekken altijd van kennisdeling en hebben als doel het bevorderen van wetenschappelijk onderzoek of het verbeteren van de behandeling van patiënten.

## DE CODE VOOR DEONTOLOGIE VAN PHARMA.BE

De biofarmaceutische industrie moet voldoen aan uitgebreide wettelijke vereisten, zoals de farmaceutische wetgeving, wetgeving over mededinging, wetgeving inzake intellectuele eigendom en gegevensbescherming en anti-corruptie regelgeving. **Daarbovenop engageren onze leden-bedrijven zich vrijwillig voor de aanvullende normen in de Code voor Deontologie van pharma.be.**

Deze Code biedt een kader voor het ontwikkelen van duurzame relaties met partners in de gezondheidszorg. De Code bepaalt aan welke eisen de sector moet voldoen en ondersteunt het engagement van de bedrijven om op een professionele, ethische en transparante manier te werken.

De Code voor Deontologie is van toepassing op verschillende activiteiten van farmaceutische bedrijven:

- voorlichting en promotie met betrekking tot geneesmiddelen
- interacties met zorgverleners, gezondheidszorgorganisaties en patiëntenorganisaties

## Procedure wanneer de bepalingen van de Code worden overtreden

In geval van twijfel over het naleven van de Code door een lid van pharma.be, kan elke natuurlijke of rechtspersoon een klacht indienen bij het Secretariaat van de Code voor Deontologie. Deze klacht wordt in eerste instantie behandeld door de Commissie voor Deontologie en Farmaceutische Ethiek (Commissie DEF). Wordt er in beroep gegaan tegen deze beslissing, dan wordt dit door de Kamer van Beroep opgenomen.

**Deze deontologische organen zijn onafhankelijk van pharma.be.** Ze zijn samengesteld uit:

- een voorzitter, jurist van opleiding, die niet actief is binnen de farmaceutische industrie
- een lid dat de farmaceutische industrie vertegenwoordigt (producten voor menselijke of diergeneeskunde), afhankelijk van het product/issue
- een niet-industrieel lid dat ofwel de medische of farmaceutische sector vertegenwoordigt, of de wetenschappelijke of academische wereld

De Code voor  
Deontologie



Je kan een papieren versie aanvragen via: [deonto@pharma.be](mailto:deonto@pharma.be)

Deze samenstelling weerspiegelt een sterke tendens tot het externaliseren van de zelfreguleringsprocedures in de farmaceutische sector: de inbreng van vertegenwoordigers van alle partners in de gezondheidszorg en van objectieve juristen (waaronder voormalige magistraten van de hoogste rechtscolleges) biedt een duidelijk voordeel in termen van onafhankelijkheid en beoogt een verdere professionalisering van dit soort procedures.

Eens de klacht is neergelegd, wisselen de betrokken partijen hun argumenten eerst schriftelijk uit vooraleer hun standpunt in een hoorzitting voor het betrokken deontologische orgaan te verdedigen.

Wordt er een inbreuk op de Code vastgesteld, dan beveelt de Commissie DEF of de Kamer van Beroep de onmiddellijke stopzetting van de gewraakte praktijk. Ze kunnen ook nog het volgende opleggen:

- corrigerende maatregelen, zoals aanpassing van het promotiemateriaal, toevoegen van een bericht van rechtzetting of mededeling van de beslissing aan de medische en/of farmaceutische sector
- begeleidende maatregelen, zoals aanbevelingen inzake transparantie of leesbaarheid
- financiële vrijwaringsmaatregelen in de vorm van de betaling van een vergoeding aan de Koning Boudewijnstichting
- de publicatie van de beslissing in bepaalde wetenschappelijke tijdschriften

Deze procedure is uitgewerkt in de artikels 58 tot 83 van de Code voor Deontologie van pharma.be.

In 2021 werden twee gevallen afgehandeld door de Commissie DEF. Een derde werd voorgelegd aan de Kamer van Beroep, die in maart 2022 uitspraak deed.

Geïnteresseerden kunnen een uittreksel van deze beslissingen opvragen via [deonto@pharma.be](mailto:deonto@pharma.be). Voor communicatie over een uittreksel van een beslissing is evenwel steeds een voorafgaand akkoord van de betrokken partijen nodig.

### Procedure van toezicht inzake de geschreven communicatie (BTGC)

Binnen pharma.be is er nog een tweede deontologische procedure: het Bureau van Toezicht op de Geschreven Communicatie (BTGC). Deze heeft

specifiek tot doel om de communicatie te controleren van onze leden-bedrijven naar zorgverleners over geneesmiddelen die ze op de markt zetten.

### Wat is BTGC?

Op 1 mei 2010 lanceerde pharma.be dit nieuwe initiatief met als doel het verbeteren van de kwaliteit van de informatie die onze leden-bedrijven aan zorgverleners verstrekken.

Een onafhankelijk orgaan, **BTGC**, werd opgericht om de kwaliteit van deze informatie te controleren en te checken of deze in lijn is met de Code voor Deontologie van pharma.be en met de wet- en regelgeving. Dit project van zelfregulering is uniek in de wereld.

### Waarom geven farmaceutische bedrijven informatie mee aan zorgverleners?

(Bio)farmaceutische bedrijven investeren gemiddeld 10 tot 12 jaar in O&O van een nieuw innovatief geneesmiddel. Tijdens dit proces bouwen ze heel wat expertise op en verzamelen ze een schat aan wetenschappelijke informatie die ze ter beschikking stellen van zorgverleners, zodat deze voldoende voorkennis hebben om hun patiënten te begeleiden en het juiste gebruik van geneesmiddelen te stimuleren.

### Hoe verloopt de procedure?

Elke maand selecteert het BTGC willekeurig vijf geneesmiddelen van vijf verschillende leden-bedrijven van pharma.be. Deze bedrijven worden gecontacteerd en bezorgen het BTGC een kopie van alle geschreven communicatie over deze geneesmiddelen, gericht op de zorgverleners.

Het BTGC, samengesteld uit een jurist, een geneesheer en een apotheker, analyseert en controleert of deze communicatie in overeenstemming is met de wetgeving op geneesmiddelenreclame en met de Code voor Deontologie van pharma.be.

Wil je hierover nog meer weten? De gedetailleerde procedure van het BTGC vind je terug in de artikels 46 tot 57 van onze Code voor Deontologie.

# Het deontologische platform Mdeon

Deontologie en zelfregulering overstijgen de werking van onze vereniging. De farmaceutische industrie (met inbegrip van pharma.be) en de sector van medische en tandtechnologie zijn allemaal lid van het deontologische platform Mdeon, naast verenigingen van artsen, apothekers, dierenartsen, tandartsen, verpleegkundigen, kinesisten, paramedici, ziekenhuistechnici en groothandelaars-verdelers.

**Dit platform wil een kwaliteitskader vastleggen voor interacties tussen zorgverleners en farmaceutische en medische technologiebedrijven.** Ze komt in het bijzonder tussen bij wetenschappelijke evenementen waaraan zorgverleners deelnemen om op de hoogte te blijven van de laatste evoluties in hun vakgebied (bijvoorbeeld internationale congressen of bijeenkomsten van onderzoekers).

In sommige gevallen is voor de financiering van de deelname van zorgverleners aan dergelijke wetenschappelijke bijeenkomsten een visum nodig. Mdeon is verantwoordelijk voor de toekenning van deze visa, als garantie op het respecteren van de wetgeving en deontologie.

Mdeon staat ook in voor het beheer van het platform betransparent.be (zie verder).

De wettelijke basis voor het optreden van Mdeon is artikel 10 van de Wet op de geneesmiddelen van 25 maart 1964.

De Code voor Deontologie van Mdeon vind je hier



## En wat daarna?

Op basis van het rapport van het BTGC kunnen de bedrijven hun communicatie bijsturen zodat die beter voldoet aan de wettelijke en deontologische bepalingen. Daarnaast maakt het BTGC elk jaar een verslag op met een samenvatting van hun evaluaties en met heel wat aanbevelingen. Leden-bedrijven van pharma.be kunnen deze verslagen gebruiken als *best practices* voor het ontwikkelen van promotiemateriaal gericht op zorgverleners.

Je kan een digitale versie van het verslag van 2021 opvragen via [deonto@pharma.be](mailto:deonto@pharma.be). Via dit initiatief erkennen en nemen onze leden-bedrijven hun verantwoordelijkheid in het delen van wetenschappelijke informatie en de kwaliteit van de geneesmiddelen die ze op de markt brengen.

Het BTGC staat zo mee garant voor het derde ethische principe dat opgenomen is in de inleiding van onze Code voor Deontologie: "De aangesloten ondernemingen streven ernaar dat de informatie in reclamemateriaal een goed evenwicht tussen de risico's en voordelen van hun geneesmiddelen weergeeft en het correcte gebruik ervan ondersteunt. Reclame is ethisch, nauwkeurig, evenwichtig en mag niet misleidend zijn."

*"Elke maand worden vijf leden van pharma.be uitgenodigd om hun geschreven communicatie over een bepaald geneesmiddel, bedoeld voor zorgprofessionals, aan het BTGC te bezorgen. De leden van het BTGC handelen volledig onafhankelijk bij de evaluatie van deze communicatie. De meerwaarde van deze controleprocedure ligt in het feit dat ze de aandacht van de bedrijven blijft vestigen op het wettelijke en ethische kader naarmate onze manieren van communicatie evolueren. Het BTGC wil met deze aanbevelingen bijdragen tot een kwaliteitsvolle geschreven communicatie bij de bedrijven. De conclusies bieden bedrijven praktische richtlijnen voor het naleven van de regelgeving."*

Marc Van Grimbergen, Voorzitter BTGC

Voor meer info, raadpleeg de brochure 'Health Ethics'





Vijf voorwaarden waaraan wetenschappelijke evenementen moeten voldoen:



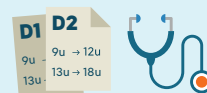
### Wat de wet zegt

Voorafgaande toestemming van het Visumbureau van Mdeon voor congressen die verlopen over meerdere dagen. Samenstelling van het Bureau: 1 jurist, 1 lid uit de gezondheidssector en 1 lid uit de farmaceutische industrie

Mdeon

### Wetenschappelijke aard

voldoet aan een medische behoefte, geen ontspanning



### Precieze plaatsen en data

zonder verwarring omtrent de wetenschappelijke aard



### Geplafondeerde maaltijden, hotels en verplaatsingen, ook in het buitenland

en alleen voor de gezondheidszorgbeoefenaar



Gezondheidszorgbeoefenaar: Economy  
Spreker: Business Class toegestaan



Max.  
€ 40/lunch  
€ 80/diner



Max.  
€ 250 per  
nacht



Partners niet ten  
laste genomen

### Vergoedingen beperkt tot de officiële duur van het congres

verlenging ten private titel moet worden betaald door de gezondheidszorgbeoefenaar



\*Bekostiging enkel toegestaan indien het niet mogelijk is om de ochtend van het congres toe te komen of de avond van het congres terug te keren

### Geen tegenprestaties

verlenging ten private titel moet worden betaald door de gezondheidszorgbeoefenaar



Bron: brochure 'Health Ethics - Ethische samenwerking tussen de gezondheidssector en farmaceutische bedrijven in België'



## GARANDEREN VAN DE TRANSPARANTIE IN HET BELANG VAN DE PATIËNT

Willen we het maximum halen uit een ecosysteem zoals de Belgische gezondheidszorg, dan moeten we bruggen bouwen tussen de verschillende actoren en zorgen voor een optimale samenwerking tussen hen. Dit is in het bijzonder zo voor de farmaceutische industrie en zorgverleners, gezondheidszorgorganisaties en patiëntenorganisaties. Zij interageren en werken samen in diverse domeinen van hun activiteiten:

- Farmaceutische bedrijven werken samen met zorgverstrekkers en gezondheidszorgorganisaties om hun eigen expertise te delen en kennis uit te wisselen, om zorgverleners in staat te stellen deel te nemen aan wetenschappelijke bijeenkomsten, om wetenschappelijk onderzoek te doen en de medische wereld te informeren over de verschillende beschikbare behandelingsopties.
- Met patiëntenorganisaties werken farmaceutische bedrijven samen om meer te leren over hoe patiënten hun ziekte ervaren om zo behandelingen te kunnen ontwikkelen die nog beter op hun noden zijn afgestemd. Ze ondersteunen de patiëntenorganisaties ook in hun educatieve werking en community building.

Deze vormen van samenwerking zijn essentieel om medische vooruitgang te kunnen boeken en voor een optimale patiëntenzorg.

**Voor deze samenwerkingen geldt een strikt wettelijk kader om de onafhankelijkheid van de diverse betrokken partijen te garanderen. Dit kader omvat onder meer de verplichting tot transparantie naar het publiek.** Transparantie is van cruciaal belang voor de farmaceutische sector. Meer transparantie zorgt voor een beter begrip van de interacties en om legitieme vragen van het publiek hierover te beantwoorden.

Sinds 2017 documenteren en publiceren farmaceutische en medische technologiebedrijven bepaalde financiële informatie over hun interacties met zorgverleners, gezondheidszorgorganisaties en patiëntenorganisaties via het platform [www.betransparent.be](http://www.betransparent.be).

## Een overzicht van het Transparantieregister in 2022

De cijfers die in 2022 werden gepubliceerd slaan op het werkingsjaar 2021:

- In totaal werd voor 255,4 miljoen euro aan samenwerking met zorgactoren gepubliceerd. Dit is een stijging van 33 % in vergelijking met het coronajaar 2020 en van 3 % in vergelijking met 2019, pre-corona.
- Het merendeel van de samenwerkingen – 174,3 miljoen euro of 68 % van het totaalbedrag – slaat op wetenschappelijk onderzoek. Het gaat dan vooral om samenwerkingen in het kader van klinische studies. Dit komt omdat België een koploper is op het vlak van klinische studies in Europa. Onze zorgverleners en ziekenhuizen hebben wereldwijd een uitstekende reputatie.
- De andere vormen van samenwerking omvatten:
  - deelnames aan wetenschappelijke manifestaties (27,1 miljoen euro), die vooraf door Mdeon moeten worden goedgekeurd via een visumprocedure
  - schenkingen en subsidies aan gezondheidszorg (21,4 miljoen euro)
  - vergoedingen van dienstverleningscontracten (19,5 miljoen euro)
  - bijdragen aan patiëntenorganisaties (13,1 miljoen euro)

Dit laatste gaat vooral om Europese patiëntenorganisaties die hun uitvalsbasis in België hebben omwille van de aanwezigheid van de Europese instellingen.

	2021
Wetenschappelijk onderzoek	€ 174.254.150
Wetenschappelijke manifestaties	€ 27.129.289
Schenkingen en toelagen die de gezondheidszorg ondersteunen	€ 21.381.575
Vergoedingen van dienstverleningscontracten	€ 19.524.385
Andere ondersteuning (PO)	€ 13.131.161

**€ 255.409.559**

Bron: [www.betransparent.be](http://www.betransparent.be)



- mogelijkheid tot het exporteren van zoekresultaten naar een Excelbestand
- vermelden van de totaalbedragen voor een begunstigde in het zoekresultaat
- uitbreiden van de geldigheidsduur van captcha's tot drie uur
- algemeen moderniseren van de website

Op langere termijn wordt nagegaan in welke mate er ook inhoudelijke verbeteringen kunnen worden doorgevoerd om een nog betere transparantie te krijgen. Dit vereist een nauwe samenwerking met het FAGG en het kabinet van de minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid; deze gesprekken worden momenteel intern voorbereid.

### Stand van zaken na vijf jaar Transparantieregister

In 2022 bestond het wettelijke kader voor de transparantie van interacties vijf jaar. Tijd dus om een balans op te maken.

In april 2022 verschenen enkele kritische artikels over het platform betransparent.be. Deze gaven de indruk dat de industrie bewust de informatieverstrekking bemoeilijkt en dat de financiële informatie op een incorrecte of onduidelijke manier werd gerapporteerd. pharma.be heeft daar onmiddellijk op gereageerd, net als andere betrokken partijen, en is in dialoog gegaan met de journalisten.

**Als medebeheerder van het platform staat pharma.be open voor meer transparantie en een betere toegankelijkheid van de gepubliceerde gegevens.** Op initiatief van pharma.be, hebben de leden van het platform betransparent.be (beheerd binnen Mdeon) onderzocht in welke mate ze het platform konden verbeteren, in lijn met de doelstelling van de Sunshine Act<sup>10</sup>.

Concreet zijn volgende verbeteringen binnen Mdeon goedgekeurd:

- verbeteren van de zoekmachine door de integratie van volgende functies:
  - transversale zoekopdrachten mogelijk maken op basis van alleen de naam van de begunstigde (alle categorieën van begunstigden en jaren gecombineerd)
  - makkelijk schakelen tussen kalenderjaren binnen een zoekresultaat
  - kruisverwijzingen binnen eenzelfde zoekresultaat mogelijk maken

*"Samenwerking tussen de bedrijven die geneesmiddelen of medische hulpmiddelen produceren en zorgbeoefenaars, zorginstellingen en patiëntenverenigingen heeft potentieel een meerwaarde voor onze gezondheidszorg. Maar die samenwerking moet deontologisch verantwoord zijn en volkomen transparant. De publicatie van informatie over dergelijke samenwerkingen die relevant, exact, controleerbaar en leesbaar is, is noodzakelijk voor het vertrouwen in ons gezondheidssysteem en de actoren die er deel van uitmaken. Ongetwijfeld is er nog verbetering mogelijk in het proces dat vijf jaar geleden gelanceerd is, en kan de transparantie versterkt worden. Daarover zal ik samen met het FAGG in overleg gaan met het Platform en de sectoren die er deel van uitmaken."*

*Frank Vandenbroucke, minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid<sup>11</sup>*

Wie meer wil weten over de transparantieverplichting, kan het volledige activiteitenrapport van betransparent.be hier raadplegen



## 4.1.2

### Met oog voor dringende noden van de patiënt

De programma's *compassionate use* en *medical need* maken het mogelijk om een geneesmiddel dat nog niet door het EMA werd goedgekeurd omdat de vergunningsprocedure nog loopt, in uitzonderlijke gevallen toch al toe te dienen aan patiënten die aan een chronische of ernstige ziekte lijden en die niet kunnen worden behandeld met een geneesmiddel dat wel al op de markt beschikbaar is.

Met een nieuwe wetgeving in 2014 heeft België de Europese Verordening 726/2004 (artikel 83) uitgevoerd en het concept *compassionate use* ingevoerd. Tegelijk heeft ons land van de gelegenheid gebruikgemaakt om een ruimer wettelijk kader te creëren door ook medische noodprogramma's toe te staan.

Het belangrijkste verschil tussen deze twee programma's heeft te maken met de handelsvergunning:

- **Compassionate use programma's** (CUP) slaan op geneesmiddelen waarvoor nog geen handelsvergunning is verleend.
- **Medische noodprogramma's** (MNP) betreffen geneesmiddelen die al een handelsvergunning voor een bepaalde indicatie hebben maar die in een tweede of derde niet-goedgekeurde indicatie worden gebruikt.

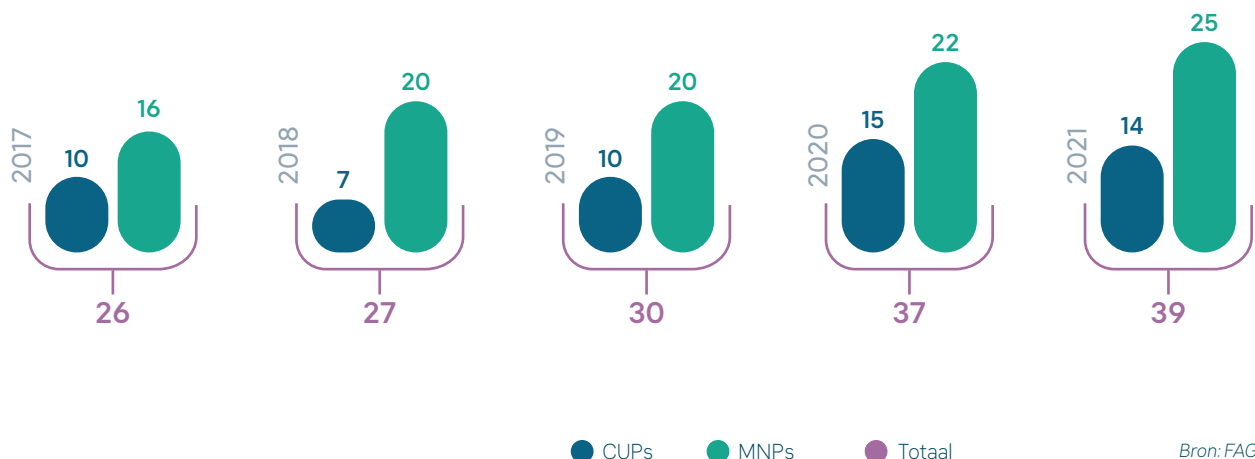
Om patiënten via deze programma's in uitzonderlijke gevallen **sneller én gratis** toegang te geven tot de nieuwste behandelingen nog voor de registratieprocedure is afgerond, moet het FAGG een tijdelijke vergunning of Early Temporary Authorisation (ETA) toestaan.

Omdat het EMA nog geen markttoelating heeft toegekend, moet het FAGG heel streng de voordelen tegenover de risico's van het geneesmiddel afwegen. Wordt de aanvraag goedgekeurd, dan geeft het bedrijf gratis het nieuwe geneesmiddel aan de patiënten die op verzoek van hun behandelende arts in het programma worden opgenomen. De programma's duren tot het moment dat het geneesmiddel beschikbaar is op de markt voor de betrokken indicatie.

Deze uitzonderlijke terbeschikkingstelling gebeurt in volledige transparantie: alle goedgekeurde programma's worden op de FAGG-website gepubliceerd<sup>112</sup>. Patiënten en zorgverleners kunnen die daar raadplegen.

In de herfst van 2022 waren meer dan 60 programma's lopende.

Aantal goedgekeurde CUPs en MNPs per jaar



Bron: FAGG

### 4.1.3 Met zorg voor leefmilieu en klimaat

Onze leden hechten niet alleen belang aan ethische aspecten maar ook aan de milieu-impact van hun geneesmiddelen. Zo streven ze naar een vermindering van de CO<sub>2</sub>-voetafdruk van hun activiteiten in België en in de rest van de wereld.

Ze zetten ook actief in op het tegengaan van verontreiniging. Farmaceutische stoffen kunnen in het milieu terechtkomen bij bijvoorbeeld de productie van geneesmiddelen en het gebruik ervan door mens en dier. Daarom wordt in de hele cyclus, van onderzoek tot productie, gebruik en vernietiging van geneesmiddelen, heel bewust gefocust op het vermijden van verontreiniging. Hiervoor is samenwerking met alle actoren binnen de keten cruciaal.

Enkele sprekende voorbeelden van onze inspanningen voor leefmilieu en klimaat:

#### Multistakeholder inzameling van vervallen en niet-gebruikte geneesmiddelen

Niet-gebruikte en vervallen geneesmiddelen mag je niet zomaar in het toilet doorspoelen of in de vuilnisbak deponeren. Ze moeten apart worden gesorteerd en ingezameld, want ze kunnen schadelijk zijn voor het milieu. En ook voor de volksgezondheid kunnen ze schadelijk zijn; een 'afvalgeneesmiddel' blijft immers nog steeds een geneesmiddel en mag niet oneigenlijk gebruikt worden (spelende kinderen bijvoorbeeld, of dieren op zoek naar voedsel).

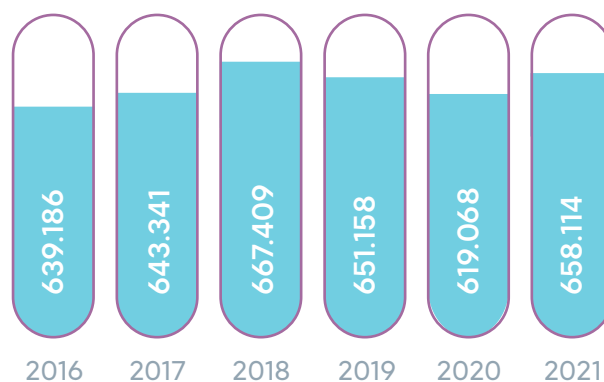
Om het sorteren aan te moedigen en de inzameling correct te laten verlopen, heeft de biofarmaceutische sector samen met diverse betrokken partijen een oplossing uitgewerkt die de patiënt niets kost. Dankzij dit multistakeholder initiatief kan je niet-gebruikte en vervallen geneesmiddelen gewoon bij je apotheker binnenbrengen. De apotheker verzamelt de geneesmiddelen in een speciale doos. De dozen worden daarna opgehaald door de groothandelaars-verdelers en vernietigd in verbrandingsovens; de energie die daarbij vrijkomt, wordt hergebruikt.



De biofarmaceutische sector draagt de kosten van de kartonnen dozen en de verbrandingskosten, inclusief de transportkosten van het distributiecentrum van de groothandelaar naar de verbrandingsinstallatie. Deze kosten worden verdeeld op basis van het aantal geneesmiddelen dat in het voorafgaande jaar op de ambulante markt is verkocht.

**Dankzij deze samenwerking kon in 2021 in België 658.114 kg aan niet-gebruikte en vervallen geneesmiddelen worden ingezameld.** In onderstaande tabel zie je dat na een daling in 2019 en in het bijzonder in 2020, het ingezamelde volume terug stijgt in 2021. De interpretatie van deze evolutie is niet eenvoudig. Een toename kan positief zijn omdat daardoor allicht minder geneesmiddelen in het milieu terechtkomen. Een afname kan er evenwel net op wijzen dat er minder verspilling van geneesmiddelen is, wat ook een goede zaak is. Het lage cijfer in 2020 is te wijten aan COVID-19, waardoor minder mensen hun vervallen en niet-gebruikte geneesmiddelen bij de apotheek hebben binnengebracht.

#### Totale hoeveelheid vervallen of niet-gebruikte geneesmiddelen in kg



Bron: pharma.be

## Start 4 water – mensen stimuleren om hun steentje bij te dragen via kunst

Van 20 oktober tot 4 december 2022 kon je in de Brusselse Bozar de tentoonstelling Faces of Water | Art Meets Awareness bekijken.

pharma.be was één van de partners in dit kunstproject, met name in de realisatie van een installatie van de Amerikaanse kunstenaar Haseeb Ahmed. Hij werkt al ruim tien jaar rond wind en water. In deze tentoonstelling focuste hij op de impact van farmaceutische vervuiling die, ondanks grote inspanningen ter voorkoming, in onze waterketen terecht komt.

Ahmed kwam tot de paradoxale vaststelling dat een aantal stoffen die ontwikkeld werden om onze lichamelijke gezondheid te ondersteunen, op termijn onze ecosystemen kunnen aantasten. Met zijn kunst zoomt Ahmed in op deze complexiteit en houdt hij ons een spiegel voor. Een groot deel van de vervuiling in het ecosysteem hebben we tenslotte zelf in de hand.

Ook via kunst wil pharma.be de bevolking aanzetten om hun steentje bij te dragen door vervallen en ongebruikte geneesmiddelen naar de apotheek te brengen om daarna veilig vernietigd te worden.

Je kan het project volgen via



## E-PIL: Electronic Patient Information Leaflet

Elke verpakking van een geneesmiddel bevat een papieren bijsluiter met richtlijnen en belangrijke informatie voor een goed gebruik van het geneesmiddel. De papieren bijsluiter wordt verplicht door de Europese wetgeving. Alleen al in België worden elk jaar meer dan 100 miljoen vergoede geneesmiddelenverpakkingen afgeleverd. De impact op het milieu is dan ook enorm. Maar misschien zijn er situaties waarin een elektronisch alternatief even veilig én duurzamer is?

Om dit te onderzoeken, lanceerde de biofarmaceutische industrie in 2018 het pilootproject Electronic Patient Information Leaflet (e-PIL). e-PIL focust op een selectie geneesmiddelen die in België en Luxemburg op de markt zijn en waarvan de toediening beperkt is tot de gecontroleerde omgeving van een ziekenhuis. In zo'n omgeving worden geneesmiddelenverpakkingen nooit rechtstreeks aan patiënten bezorgd zonder de begeleiding van een gezondheidsberoepsoefenaar. Een elektronische bijsluiter kan hier een snel, efficiënt en ecologisch alternatief bieden.

De elektronische bijsluiter is beschikbaar via betrouwbare bronnen zoals de databank van het FAGG, de website van het Belgisch Centrum voor Farmacotherapeutische Informatie (BCFI) of de pharma.be e-compendium website. De elektronische bijsluiter is niet alleen duurzamer maar biedt ook andere voordelen, zoals toegang tot de recentste informatie en de mogelijkheid om de bijsluiter op een gebruiksvriendelijke en gepersonaliseerde manier te raadplegen (bijvoorbeeld. groter lettertype of taal naar keuze).

Het e-PIL pilootproject is een primeur in Europa. **Vier jaar na de start zijn de tussentijdse resultaten bijzonder positief** en in lijn met vorige tussentijdse evaluaties. 97 % van de ondervraagde ziekenhuisapothekers ondervond geen hinder van het ontbreken van de papieren bijsluiter. De positieve impact op het milieu werd ook erkend door de ziekenhuisapothekers. Voor 95 % van de ondervraagde ziekenhuisapothekers mag de papieren bijsluiter in de toekomst worden verwijderd uit alle verpakkingen van geneesmiddelen die worden toegediend in het ziekenhuis.

"Een gestructureerde elektronische geneesmiddelenbijsluiter is een efficiënte, onmisbare informatiebron om gezondheidswerkers in het ziekenhuis te ondersteunen in het aanbieden van kwaliteitsvolle en veilige patiëntenzorg. Wanneer de meest actuele versie van de elektronische bijsluiter steeds vlot beschikbaar is via één centraal platform of geïntegreerd wordt in het elektronisch patiëntendossier is een papieren bijsluiter in elke verpakking overbodig. Deze stap richting een papierloos ziekenhuis draagt tevens bij aan een ecologische en duurzame gezondheidszorg."

Ziekenhuisapotheker Thomas De Rijdt,  
UZ Gasthuisberg

### Op basis van deze positieve resultaten gaf de Europese Commissie in 2022 haar goedkeuring om het project te verlengen tot 1 augustus 2025

en om meer geneesmiddelen in het project op te nemen. Door meer data te verzamelen, kunnen de eerste conclusies worden bevestigd en kan worden overwogen om het exclusieve gebruik van de elektronische bijsluiter in de ziekenhuisomgeving in de wetgeving op te nemen. Tussen augustus en november 2022 werd daarom een derde oproep voor kandidaten gelanceerd naar de farmaceutische bedrijven. Een groot aantal geneesmiddelen werd ingestuurd. Momenteel loopt de validatie van deze geneesmiddelen door de competente autoriteiten in België en Luxemburg. In het voorjaar van 2023 zullen dus nóg meer geneesmiddelen dan de huidige 42 aan het project worden toegevoegd.

Je kan het project  
volgen via



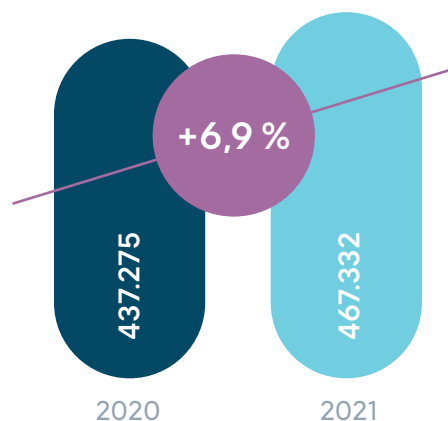
## 4.1.4 Met zorg voor mens én dier

### Beperking van dierproeven<sup>13</sup>

Eén van de hoekstenen in proefdieronderzoek is het principe van de '3 V's' dat onderzoekers verplicht om het aantal proefdieren te **verminderen**, proeven te **verfijnen** om dierenleed tot een minimum te herleiden, en om waar mogelijk het werken met proefdieren te **vervangen** door andere methodes. De geneesmiddelenindustrie onderschrijft deze principes.

In 2021 werden 467.332 dieren gebruikt in onderzoek, een verhoging van 6,9 % ten opzichte van 2020. 55 % van de proefdieren zijn muizen; 13,1 % zijn konijnen. Honden en katten worden in veel mindere mate gebruikt (0,32 % voor beide soorten).

### Aantal dieren gebruikt in onderzoek



Bron: EU Statistical Data of all uses of animals

Het merendeel van de proefdieren werd in 2021 ingezet voor fundamenteel en toegepast onderzoek (72,4 %). Na een vermindering van dit aandeel in 2020, liggen de cijfers van 2021 op hetzelfde niveau als in 2019. Voor wettelijk verplicht onderzoek en routineproductie (testen van de kwaliteit en doeltreffendheid, bepalen van de toxiciteit van een product, enz.) werden 109.548 proefdieren gebruikt of 23,4 % van het totaal aantal proefdieren. Dit is een vermindering ten opzichte van 2020, zowel in absolute cijfers (127.262) als in aandeel (29,1 %).

## Wie of wat is AMCRA?

AMCRA staat voor **Antimicrobial Consumption & Resistance in Animals**. AMCRA is een federaal kenniscentrum dat zich inzet voor de vermindering van antibioticaresistentie en antibioticagebruik bij dieren in België. De organisatie verzamelt en analyseert relevante gegevens en gebruikt deze om dierenartsen en eigenaars van dieren te sensibiliseren en gericht advies te geven.

De **Animal Health Group van pharma.be** was één van de mede-oprichters van AMCRA in 2012 en dat is geen toeval. De doelstellingen van AMCRA weerspiegelen in grote mate de visie van onze organisatie.

pharma.be streeft ernaar dat zieke dieren in België kunnen worden behandeld met diergeneesmiddelen van hoge kwaliteit. Het concept van 'One Health' staat daarbij voorop: de gezondheid van dieren, mensen en het milieu zijn nauw met elkaar verbonden en beïnvloeden elkaar. Een duurzaam gebruik van antibiotica in de diergeneeskunde is dan ook belangrijk om de volksgezondheid te helpen vrijwaren.

## Rationeler gebruik van antibiotica bij dieren

Net zoals de vorige jaren blijft pharma.be zich actief inzetten voor een beleid dat het rationeel gebruik van antibiotica stimuleert. We doen dit onder meer via AMCRA (zie kader). Het is immers van het grootste belang voor de gezondheid van mens en dier dat ze kunnen behandeld worden met een antibioticum wanneer dat nodig is.

Door dierenartsen en veehouders te sensibiliseren rond rationeel gebruik van antibiotica en door het belang van preventie te benadrukken, kunnen we de resistentie van bacteriën tegen deze geneesmiddelen beperken en de doeltreffendheid van antibiotica zo lang mogelijk behouden.

**Dankzij de inspanningen van alle betrokkenen bij het Belgische antibioticabeleid daalde het antibioticumgebruik in ons land in 2021** opnieuw, na een jaar van stilstand in 2020, en wel met 8,4 %. Dit betekent dat we, in vergelijking met ons referentiejaar 2011, bijna de helft minder antibiotica gebruiken bij dieren. Deze daling vinden we terug bij alle diersoorten waarvan het antibioticumgebruik opgevolgd wordt: er is een daling op jaarbasis van 15,3 % bij varkens, 19,4 % bij vleeskalveren en maar liefst 40,7 % bij pluimvee.

Naast de goede cijfers van het algemene gebruik van antibiotica is er ook zeer goed nieuws wat betreft de 'rode' antibiotica<sup>14</sup>. Hier zien we een daling in het gebruik van maar liefst 42,8 % in vergelijking met het jaar voordien. In vergelijking met 2011 is het gebruik van deze moleculen verminderd met meer dan 80 %.





## 4.2 We werken samen in het voordeel van de patiënt

Gezondheid en gezondheidszorg zijn geen opdracht van één individu of één instantie. Het gaat om een complex systeem dat een geïntegreerde benadering vraagt. Samenwerking is dus niet alleen handig, maar ook een absoluut noodzakelijke voorwaarde voor gezondheid en innovatie. pharma.be maakt daarom continu werk van duurzame, kwaliteitsvolle samenwerkingen, met patiëntenorganisaties, maar ook bij het verzamelen van gegevens of het verzekeren van de beschikbaarheid van geneesmiddelen.

### pharma.be pleit mee voor een nieuw Nationaal Kankerplan

Met het Europese plan tegen kanker wil de Europese Commissie de strijd tegen de ziekte nog opvoeren. Dit plan pakt kanker vanuit alle invalshoeken aan: preventie, diagnose, behandeling en overleving. Op 22 juni 2022 organiseerde pharma.be hierover een infosessie, samen met Stichting tegen Kanker.

Het Belgische Kankercentrum wil met alle stakeholders samenwerken om het Europese plan zo goed mogelijk naar de Belgische context te vertalen. Als innoverende farmaceutische industrie staan wij vanuit pharma.be volledig achter dit pleidooi om samen werk te maken van een nieuw Nationaal Kankerplan.

pharma.be is zelf ook een pleitbezorger van sterke partnerschappen en samenwerkingsverbanden. De Werkgroep Kankerplan van pharma.be nodigde daarom graag de Stichting tegen Kanker uit om de Kankerbarometer voor te stellen. Die geeft een globaal overzicht van de kankerzorg in België en de prioriteiten voor de strijd tegen kanker.

### 4.2.1

#### Samenwerking met patiëntenorganisaties

Binnen pharma.be is samenwerking met patiënten van het grootste belang. Er wordt dan ook heel bewust op ingezet. In 2021 werd een **werkgroep** opgericht die zich specifiek toelegt op topics rond patiëntenorganisaties. Deze werkgroep is samengesteld uit 20 bedrijven. Doel is het versterken van de samenwerking tussen patiëntenorganisaties en farmaceutische bedrijven en het formuleren van verbetervoorstellen.

Als actoren in eenzelfde ecosysteem is samenwerking tussen farmaceutische bedrijven en patiëntenorganisaties een must. Zoals in elke sector, is het luisteren naar de eindgebruiker van de producten cruciaal voor farmaceutische bedrijven. Patiënten kennen immers als geen ander de praktische impact van een ziekte op hun dagelijkse leven en dat van hun naasten, en weten het beste hoe een behandeling echt een verschil kan maken. Door deze informatie te verzamelen kunnen farmaceutische bedrijven geneesmiddelen ontwikkelen die effectief beantwoorden aan de behoeften van de patiënten. In de praktijk komt dit neer op regelmatig overleg met patiënten vanaf de eerste fases van een onderzoek en doorheen de volledige levenscyclus van een geneesmiddel (klinische studies, sensibiliseringscampagnes, verbetering van de kennis van patiënten, RWD-verzameling, enz.).

Binnen dit kader leidt het Patient Expert Center (PEC) (<https://www.patientexpertcenter.be/>) Patiënt Experts op die kunnen spreken in naam van patiënten die aan dezelfde ziekte lijden. Op die manier kunnen ze advies geven aan de farmaceutische bedrijven, overheden en academische instellingen. **pharma.be ondersteunt dit initiatief en is lid van het bestuursorgaan van PEC sinds de officiële lancering in 2019.**

Van hun kant kunnen patiëntenorganisaties farmaceutische bedrijven aanspreken om ondersteuning te vragen voor hun werking, zoals het opzetten van een sensibiliseringscampagne, het ontwikkelen van een brochure of het organiseren van een event. Hoofdstuk drie van de Code voor Deontologie van pharma.be bevat de algemene principes en regels die bedrijven moeten respecteren wanneer ze met een patiëntenorganisatie samenwerken.

**Uitgangspunt van de werkgroep is de wil tot cocreatie met patiëntenorganisaties, vanaf het begin.** De werkgroep is daarom gestart met het contacteren van ruim 60 patiëntenverenigingen om hen bij hun activiteiten te betrekken. In 2021 vond een virtuele startvergadering plaats.

Dit was meteen de gelegenheid om met de patiëntenorganisaties van gedachten te wisselen en naar hun behoeften te luisteren. Een eerste discussie over de samenwerkingsdomeinen tussen de industrie en de patiëntenorganisaties werd opgestart. Uit de enthousiaste reactie van de patiëntenorganisaties op dit initiatief blijkt duidelijk dat beide kanten nood hebben aan dialoog.

Vervolgens werd een online enquête verspreid onder de patiëntenorganisaties om meer te weten te komen over hun aanpak, uitdagingen en hun ervaringen met samenwerking met de industrie. In totaal hebben 36 patiëntenorganisaties gereageerd. Dankzij de resultaten van deze enquête hebben we beter zicht op wat we samen kunnen en moeten doen, wat momenteel de grootste noden zijn en wie welke prioriteiten heeft.

## De resultaten van de enquête in het kort:

- De belangrijkste uitdaging voor patiëntenorganisaties is de duurzaamheid van hun vereniging op lange termijn, vooral wat de financiering betreft.
- De meeste patiëntenorganisaties waarderen de samenwerking met de biofarmaceutische sector, al geven ze mee dat er op bepaalde vlakken nog **verbeterpunten** zijn. Enkele voorbeelden:
  - Patiëntenorganisaties moeten, zoals echte partners, van bij het begin en op regelmatige tijdstippen betrokken worden bij projecten die door bedrijven worden opgezet. De evaluatie van projecten moet ook samen met patiëntenorganisaties gebeuren (bijvoorbeeld feedback over activiteiten).
  - In pre concurrentiële domeinen (d.w.z. algemene onderwerpen, zoals sensibiliseringsacties over ziektes, infocampagnes of enquêtes), moeten bedrijven hun initiatieven beter op elkaar afstemmen en samenwerken. Zo vermijd je een veelvoud aan gelijkaardige projecten van verschillende bedrijven.
  - De communicatie van bedrijven naar patiëntenorganisaties moet worden aangepast: de voorkeur gaat uit naar het Nederlands/Frans (in plaats van het Engels) en helder taalgebruik is nodig.
  - Patiëntenorganisaties hebben het moeilijk om de juiste contactpersoon bij een bedrijf te vinden.
  - De regels rond samenwerking tussen patiëntenorganisaties en biofarmaceutische bedrijven zijn versnipperd en komen niet altijd duidelijk over. Er is nood aan meer communicatie hierover.
  - De ondersteuning van patiëntenorganisaties door biofarmaceutische bedrijven is noodzakelijk en legitiem, op voorwaarde dat de onderliggende regelingen helder, transparant en evenwichtig zijn. Kleinere patiëntenorganisaties hebben weinig menskracht (vrijwilligers). Bedrijven die met hen samenwerken moeten hiermee rekening houden (bijvoorbeeld aangepaste responstijden of vereiste werklast).



### Er zijn momenteel twee projecten in ontwikkeling binnen deze werkgroep:

- Samen met het PEC organiseerde pharma.be op 1 december 2022 in Brussel de eerste editie van het 'Patient Organisations and Pharma Initiative'. Doel van dit evenement is het bij elkaar brengen van patiëntenorganisaties en farmaceutische bedrijven voor een dialoog over hoe de samenwerking kan verbeterd worden. De ambitie is om hiervan een jaarlijks evenement te maken om de contacten met patiënten te versterken en aan wederzijds vertrouwen te blijven bouwen.
- Het tweede project gaat over de moeilijkheden die patiëntenorganisaties ondervinden om hun weg te vinden in het regelgevende kader dat van toepassing is op samenwerking met farmaceutische bedrijven. De werkgroep Patient Engagement van pharma.be werkt momenteel een publicatie uit voor patiëntenorganisaties waarin de regels worden uitgelegd en geduid aan de hand van concrete voorbeelden.

Tegelijk denkt de werkgroep na over andere langetermijnprojecten die ze met patiëntenorganisaties wil realiseren. Cocreatie blijft daarbij een belangrijk uitgangspunt, wat betekent dat deze langetermijnvisie in overleg met patiëntenorganisaties zal worden opgemaakt.

"Samenwerking tussen de farmaceutische industrie en patiëntenverenigingen vergroot ontegensprekelijk de relevantie van projecten die worden ontwikkeld. Een cruciale voorwaarde daarbij is de onafhankelijkheid van de patiëntenverenigingen. Het hemelsbrede verschil in organisatievorm en capaciteit tussen de patiëntenverenigingen en farmaceutische bedrijven kan de samenwerking soms uitdagend maken. De farmaceutische industrie neemt overigens regelmatig initiatieven die idealiter geïnitieerd zouden worden door patiëntenverenigingen zelf. Nogal wat farmaceutische bedrijven ontwikkelen zonder onderlinge afstemming initiatieven die in de pre-competitieve sfeer zitten, zoals capacity building evenementen en workshops. Dit leidt enerzijds soms tot een overaanbod en een druk op patiëntenverenigingen. Zij worstelen immers bijna steeds met een beperkte capaciteit. Anderzijds zou de onafhankelijkheid van deelnemende patiëntenverenigingen beter verzekerd zijn als deze initiatieven uitgingen van de farmaceutische koepel of toch minstens van verschillende bedrijven samen."

Eva Schoeters - RadiOrg



## Wat zijn Real World Data en Real World Evidence?

Real World Data (RWD) is een overkoepelende term voor gegevens over de effecten van gezondheidsinterventies (zoals veiligheid of doeltreffendheid) die niet worden verzameld in het kader van de sterk gecontroleerde gerandomiseerde klinische studies (Randomized Clinical Trial, RCT)<sup>15</sup>.

Het kan bijvoorbeeld gaan om klinische en economische uitkomsten, administratieve gegevens, patiënt-gerapporteerde uitkomsten (PRO's) en gezondheidsgerelateerde kwaliteit van leven (HRQoL). RWD komen uit heel diverse bronnen, zoals patiëntenregisters, elektronische medische dossiers of databanken van ziekteverzekeraars.

De US Food and Drug Administration (FDA) definieert Real World Evidence (RWE) als het klinische bewijs over het gebruik en de potentiële voordelen of risico's van een medisch product dat is afgeleid van de analyse van RWD. RWE vormt een aanvulling op traditionele klinische studies om validatie in de dagelijkse klinische praktijk mogelijk te maken.



### 4.2.2 Samenwerking voor relevante gezondheidsgegevens

#### RWD in de levenscyclus van een geneesmiddel

Patiëntengegevens delen kan tot waardevolle nieuwe inzichten en medische innovatie leiden. Door veel data met elkaar te vergelijken, is het mogelijk om tot een snellere diagnose en een behandelingsplan op maat te komen. Hiervoor zijn eerst en vooral veel data over gezondheid nodig en ten tweede gaat er veel onderzoek aan vooraf. Daarom is het biofarmaceutische onderzoek met RWD doorheen de hele levenscyclus van een geneesmiddel aanwezig, aanvullend op gegevens uit klinische studies.

#### Een 'health data' ecosysteem

FAIR data vormen de basis van een 'health data' ecosysteem. FAIR staat voor



In elk van deze vier domeinen zijn nog stappen te zetten. **Samen met alle partners in het ecosysteem wil pharma.be hieraan meewerken.** We verwelkomen in 2022 dan ook heel graag de oprichting van de Belgische Health Data Authority die in dit kader erg ambitieus is en meteen van start wil gaan.

## pharma.be en RWD

Biofarmaceutisch onderzoek met RWD leidt tot nieuwe gezondheidsresultaten die ten goede komen aan de patiënt. Daarom heeft pharma.be sinds 2015 een werkgroep RWD, en sinds 2022 ook een taskforce Health Data & Digitalisation. Deze taskforce ondersteunt of lanceert projecten en beleidsinitiatieven in gezondheidsdata en digitalisering.

Een voorbeeld hiervan is een samenwerking met alle Belgische ziekenhuisassociaties, de Vereniging van Vlaamse Ziekenhuisjuristen en de Belgische Vereniging van Ziekenhuisdirecteurs aan een harmonisering van procedures en templates voor het secundaire gebruik van RWD in ziekenhuizen.

Daarnaast werken onze leden onderling aan een verduidelijking en harmonisering van de GDPR-richtlijnen voor het secundaire gebruik van persoonlijke data voor onderzoek.

pharma.be organiseert ook jaarlijks een sessie met verschillende sprekers om onze leden de recentste info over beschikbare gegevensdata, procedures en initiatieven te bezorgen. Omdat we samen willen groeien in dit nieuwe domein van data en digitalisering, stelden we dit evenement sinds 2022 ook open voor onze andere partners in het 'health data' ecosysteem.

Ten slotte werken we, samen met onze leden in het domein van CAR-T en de referentiecentra, aan een platform om de dataregistratie van CAR-T-behandelingen te vereenvoudigen en te automatiseren. Met dit project hopen we tegen eind 2023 te kunnen aantonen hoe dataregistratie beter en eenvoudiger kan. Dit moet leiden tot het efficiënter verzamelen van meer kwaliteitsvolle gezondheidsdata die kunnen worden gebruikt in onderzoek door artsen, academici en farmaceutische bedrijven.

## 4.2.3

### Samenwerking voor de beschikbaarheid van geneesmiddelen en vaccins

Geneesmiddelen moeten altijd beschikbaar zijn wanneer patiënten ze nodig hebben. In de realiteit zijn geneesmiddelen evenwel soms tijdelijk niet beschikbaar. Dit heeft te maken met het complexe productieproces en met de verschillende kwaliteitscontroles. Deze controles zijn cruciaal als we de kwaliteit en veiligheid van onze geneesmiddelen willen garanderen. We kunnen dan ook nooit helemaal uitsluiten dat de productie van geneesmiddelen hierdoor vertraging oploopt. We zullen dus nooit 100 % kunnen garanderen dat een geneesmiddel beschikbaar is.

**Daarom gaat pharma.be samen met alle stakeholders in de distributieketen en het FAGG op zoek naar oplossingen om de impact van het niet-beschikbaar zijn van een geneesmiddel op de patiënt zoveel mogelijk te beperken.**

Dit betekent in de eerste plaats dat we transparant zijn en duidelijke informatie geven over geneesmiddelen die niet beschikbaar zijn. De online applicatie FarmaStatus van het FAGG speelt hierin een belangrijke rol. Dankzij FarmaStatus kunnen artsen, apothekers en patiënten makkelijk checken hoelang hun geneesmiddel niet beschikbaar zal zijn en waarom. Via FarmaStatus kan het FAGG meteen ook alternatieven meegeven voor niet-beschikbare geneesmiddelen. Groothandelaars-verdelers, apothekers en bedrijven kunnen tot slot via FarmaStatus samen naar een oplossing zoeken wanneer een geneesmiddel niet beschikbaar is in een apotheek of bij een groothandelaar-verdeler.

Sinds begin 2021 biedt FarmaStatus extra communicatiemogelijkheden. Zo kunnen apothekers en groothandelaars-verdelers via FarmaStatus contact opnemen met een bedrijf wanneer blijkt dat een geneesmiddel toch niet beschikbaar is, ook al staat op FarmaStatus van wel, of wanneer er problemen zijn met de levering van een geneesmiddel. Naast het betrokken bedrijf ziet ook het FAGG deze meldingen. Het FAGG kan dan, indien nodig, bijkomende informatie aan de betrokken apotheker of groothandelaar-verdeler geven. Dit maakt meer gerichte reactie op een onbeschikbaar geneesmiddel mogelijk.

We zoeken samen ook naar manieren om ervoor te zorgen dat geneesmiddelen bestemd voor de Belgische markt effectief ten goede komen van Belgische patiënten. Waar mogelijk wordt het regelgevende kader aangepast om tijdelijke niet-beschikbaarheid van geneesmiddelen te vermijden zonder dat dit een negatieve invloed heeft op de kwaliteit en veiligheid. Dit alles moet ervoor zorgen dat het aantal niet-beschikbare geneesmiddelen beperkt blijft en dat de impact op de patiënt minimaal is.

Deze samenwerking heeft in 2021 geleid tot een nieuw koninklijk besluit dat ervoor zorgt dat groothandels maandelijks aan het FAGG een overzicht moeten geven van de geneesmiddelen die ze in voorraad hebben en hoeveel ze van elk geneesmiddel gekocht en verkocht hebben. Op die manier heeft de overheid een beter zicht op de beschikbare hoeveelheden van elk geneesmiddel en kan er sneller gehandeld worden als er problemen zijn.

Als we naar de concrete cijfers kijken, dan zien we dat er 406 geneesmiddelen tijdelijk niet beschikbaar waren in mei 2021. Hoewel dit een impact heeft op de patiënt en de zorgverlener (verkrijgen van een nieuw voorschrift, bijkomend bezoek aan de apotheek) is de impact op de continuïteit van de behandeling beperkt. In 351 gevallen was er immers minstens één alternatief voorhanden, en in 160 van die gevallen waren er zelfs drie of meer alternatieven. In een meerderheid van de andere gevallen kon de patiënt verder geholpen worden door een geneesmiddel uit het buitenland te importeren of door de behandeling aan te passen. Waar ook deze oplossingen niet mogelijk zijn, roept het FAGG een werkgroep samen om aanbevelingen te formuleren om de zorg van de betrokken patiënten te kunnen garanderen.

## pharma.be en FAGG organiseren samen 'Vaccines Symposium'

Meewerken aan een gezonde bevolking is de belangrijkste drijfveer van de biofarmaceutische sector. Onze leden ontwikkelen niet alleen innovatieve geneesmiddelen om zieke patiënten weer gezond te maken maar ook vaccins om ervoor te zorgen dat mensen niet ziek worden. Vaccinatie is immers één van de krachtigste en kostenefficiëntste vormen van preventie. Vaccinatie beschermt niet alleen gevaccineerde mensen maar zorgt ook voor collectieve bescherming van de bevolking. pharma.be werkt daarom mee aan een beleid dat het belang van toegang tot vaccins voor de hele bevolking promoot.

Hoewel België goed scoort op het vlak van het vaccineren van kinderen, ligt de bereidheid van volwassenen om zich te laten vaccineren een stuk lager. Nochtans is de gezondheidswinst die we bij deze bevolkingsgroep kunnen realiseren door hen te overtuigen van het belang van preventie zeer hoog.

Het gezondheidszorgbudget staat onder druk en een overheid kan elke euro slechts eenmaal uitgeven. Samenwerking is dus essentieel. Vandaar dat we samen strategisch willen inzetten op het bevorderen van de

toegang tot vaccins, het stimuleren van life long immunization en het benadrukken van het belang van het vaccineren van volwassenen. Binnen de taskforce Public Health van pharma.be hebben we ook een specifieke subgroep Vaccins met daarin alle leden-bedrijven die actief zijn op het vlak van vaccins.

Deze groep organiseerde op 10 en 12 mei 2022 twee studiedagen samen met het FAGG rond de lessen die we uit de coronapandemie in België kunnen trekken. De COVID-19-pandemie heeft in ieder geval duidelijk gemaakt hoe belangrijk immunisatie is bij de bestrijding van besmettelijke ziektes. De bevoegde autoriteiten en de biofarmaceutische industrie werkten intensief samen om veilige en doeltreffende vaccins bij de bevolking te brengen. De deskundigen van het FAGG, Sciensano, de regionale overheden en de academische wereld keken op het symposium ook vooruit, om beter voorbereid te zijn op een volgende gezondheids crisis en om de levenslange vaccinatie van Belgische patiënten zo doeltreffend mogelijk maken.

## BIJLAGE 1

# Methodiek kosten-batenanalyse

In 3.2.2 gaven we een samenvatting van de kosten-batenanalyse van de biofarmaceutische industrie voor de Belgische overheid mee. Hieronder vind je de gedetailleerde overzichten van uitgaven en inkomsten waarop we onze analyse baseerden.

## Gedetailleerd overzicht van de uitgaven (in duizend euro)

Kosten voor de overheid (2020)	3.737.128
1.1. Uitgaven van de staat voor geneesmiddelen (kost industrie, zonder btw) – RIZIV	3.661.095
1.2. Subsidies	76.033

De uitgaven van de staat voor geneesmiddelen zijn gebaseerd op de RIZIV-cijfers van de uitgaven voor farmaceutische specialiteiten. Deze uitgaven zijn opgebouwd uit de af-fabrieksprijs voor geneesmiddelen, de distributiekosten en de btw. We kijken in deze analyse enkel naar de af-fabrieksprijs voor geneesmiddelen en laten de uitgaven voor de distributie en btw buiten beschouwing.

Het bedrag van de door de overheid betaalde subsidies aan de biofarmaceutische industrie komt uit de jaarrekeningen van bedrijven die actief zijn in België. Het gaat om de rubrieken 740 (exploitatie subsidies en vanwege de overheid ontvangen compenserende bedragen), 9125 (door de overheid toegekende kapitaalsubsidies) en 9126 (door de overheid toegekende interestsubsidies).

## Gedetailleerd overzicht van de inkomsten (in duizend euro)

Inkomsten voor de overheid (2018)	4.465.816
2.1. Lasten op arbeid	2.294.658
<b>2.1.1. Sociale bijdragen ten laste van werkgevers</b>	<b>825.209</b>
<b>2.1.2. Sociale bijdragen ten laste van werknemers</b>	<b>416.873</b>
<b>2.1.3. Ingehouden bedragen ten laste van derden als bedrijfsvoorheffing</b>	<b>1.052.576</b>
2.2. Vennootschapsbelasting	335.690
2.3. Taksen	1.135.874
<b>2.3.1. Btw op omzetcijfer (6 % af-fabrieksprijs niet-terugbetaalde geneesmiddelen)</b>	<b>154.552</b>
<b>2.3.2. RIZIV-taksen op omzetcijfer</b>	<b>343.146</b>
<b>2.3.3. Ten laste van derden ingehouden bedragen aan roerende voorheffing</b>	<b>43.906</b>
<b>2.3.4. Bedrijfsbelastingen en -taksen</b>	<b>594.269</b>
2.4. Indirecte ontvangsten als gevolg van aankopen bij derden en van investeringen	699.595
<b>2.4.1. Aankoop van grondstoffen en handelwaren, diverse goederen en diensten</b>	<b>637.538</b>
<b>2.4.2. Investerings</b>	<b>62.057</b>

De inkomsten uit lasten op arbeid komen uit de jaarrekeningen van bedrijven die actief zijn in België. Het gaat om de rubrieken 621 (werkgeversbijdragen voor sociale verzekeringen), 620 (bezoldigingen en rechtstreekse sociale voordelen, deel RSZ) en 9147 (bedrijfsvoorheffing). Hetzelfde geldt voor de vennootschapsbelasting. Daar gaat het om rubriek 670 (belastingen).

De taksen worden onderverdeeld in vier elementen:

1. de btw op de niet-terugbetaalde geneesmiddelen

*Voor de berekening gebruiken we het omzetcijfer voor niet-terugbetaalde geneesmiddelen zoals aangegeven door IQVIA. We houden geen rekening met de btw op terugbetaalde geneesmiddelen omdat het RIZIV deze betaalt aan de overheid, waardoor dit geen effect heeft op de vergelijking.*

2. de taksen die bedrijven aan het RIZIV betalen op basis van hun omzetcijfer

*Dit cijfer is afkomstig van het RIZIV.*

3. de balanspost 9148 (roerende voorheffing)

4. de balanspost 640 (bedrijfsbelastingen en -taksen)

Naast de directe inkomsten zijn er ook indirecte inkomsten voor de overheid:

1. ontvangsten als gevolg van de binnenlandse aankoop van grondstoffen, handelsgoederen en diensten door de biofarmaceutische industrie

*De berekening gebeurt op basis van informatie uit de input-outputtabellen (Federaal Planbureau), die de binnenlandse vraag van de biofarmaceutische sector aan de andere sectoren weergeeft. Voor iedere sector passen we op deze binnenlandse vraag de verhouding tussen toegevoegde waarde en omzet toe (eveneens beschikbaar in de input-outputtabellen). Daarna passen we de gemiddelde (para)fiscale aanslagvoet toe (43,1 %, OECD).*

2. ontvangsten als gevolg van investeringen door de biofarmaceutische industrie

*Op het bedrag van de investeringen, gebaseerd op Statbel-gegevens, passen we de verhouding tussen toegevoegde waarde en omzet van de verwerkende industrie toe. Daarna wordt de gemiddelde (para)fiscale aanslagvoet toegepast (43,1 %, OECD).*

## BIJLAGE 2

# Afkortingen

AMCRA	Antimicrobial Consumption & Resistance in Animals
ATC	Anatomical Therapeutic Chemical
ATMP	Advanced Therapy Medicinal Product
BCFI	Belgisch Centrum voor Farmacotherapeutische Informatie
BTGC	Bureau van Toezicht op de Geschreven Communicatie
Commissie DEF	Commissie voor Deontologie en Farmaceutische Ethiek
COPD	Chronic Obstructive Pulmonary Disease
CTG	Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen
CUP	Compassionate Use Programme
DALY	Disability Adjusted Life Years
EFPIA	European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations
EMA	European Medicines Agency
E-PIL	Electronic Patient Information Leaflet
ETA	Early Temporary Authorisation
FAGG	Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten
FAIR	Findability, Accessibility, Interoperability, and Reusability
FDA	Food and Drug Administration
HRQoL	Health Related Quality of Life
IFPMA	International Federation of Pharmaceutical Manufacturers & Associations
MIDAS	Migraine Disability Assessment
MNP	Medical Need Program
OECD	Organisation for Economic Cooperation and Development
O&O	Onderzoek en Ontwikkeling
PEC	Patient Expert Center
PRO	Patient-Reported Outcomes
PV	Parenterale Voeding
QALY	Quality-Adjusted Life Year
RCT	Randomized Controlled Trial
RIZIV	Rijksinstituut voor ziekte- en invaliditeitsverzekering
RNA	Ribonucleic acid
RWD	Real World Data
RWE	Real World Evidence
SmPC	Summary of Product Characteristics, samenvatting van de productkenmerken
Statbel	het Belgische statistiekbureau
STEM	Science, Technology, Engineering & Mathematics



## Referenties

1. European Commission, European Innovation Scoreboard (EIS) 2022
2. Eurostat, Bruto binnenlandse uitgaven voor O&O
3. Eurostat, Bruto binnenlandse uitgaven voor O&O door de bedrijfssector
4. Belspo, Totale intramurale uitgaven voor O&O
5. Seboio, 20 years of high societal impact: the value of medicines in Belgium, 2020
6. Pironi L et al. ESPEN guidelines on chronic intestinal failure in adults. *Clin Nutr.* 2016;35:247-307
7. Ibidem
8. Ibidem
9. Samenvatting van de productkenmerken, 17 mei 2022 (de link naar de SmPC kan je opvragen via info@pharma.be)
10. Schwartz Lauren et al Long-Term Teduglutide for the Treatment of Patients With Intestinal Failure Associated With Short Bowel Syndrome. *Clinical and Translational Gastroenterology.* 2016;7:e142
11. Joly F. Equative: quality of life in adult patients with short syndrome treated by teduglutide, a French real-world study. *Clinical Nutrition.* 2021; 46: 665
12. Dohner H et al. Acute Myeloid Leukemia. *N Engl J Med.* 2015;373(12):1136-1152.
13. American Cancer Society. Chemotherapy for Acute Myeloid Leukemia. 2017
14. Ramos NR et al. Current Approaches in the Treatment of Relapsed and Refractory Acute Myeloid Leukemia. *J Clin Med.* 2015;4(4):665-695.
15. Ibidem
16. Perl AE et al. Gilteritinib or Chemotherapy for Relapsed or Refractory FLT3-Mutated AML. *NEJM* 2019; 381:1728-1740 DOI: 10.1056/NEJMoa1902688; Samenvatting van de productkenmerken, juni 2021 (de link naar de SmPC kan je opvragen via info@pharma.be)
17. Ibidem
18. Willemze R, et al. The 2018 update of the WHO-EORTC classification for primary cutaneous lymphomas. *Blood.* 2019;133(16):1703-1714.
19. Cleveland Clinic. Cutaneous T-Cell Lymphoma, geraadpleegd in mei 2022, van <https://my.clevelandclinic.org/health/diseases/17940-cutaneous-t-cell-lymphoma>
20. Orphanet. Prevalence and incidence of rare diseases: Bibliographic data. Januari 2021. Geraadpleegd in februari 2022, van [https://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/Prevalence\\_of\\_rare\\_diseases\\_by\\_alphabetical\\_list.pdf](https://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/Prevalence_of_rare_diseases_by_alphabetical_list.pdf)
21. Wilcox RA. Cutaneous T-cell lymphoma: 2016 update on diagnosis, risk-stratification, and management. *American Journal of Hematology.* 2016;91(1):151-65.
22. Trautinger F, et al. European Organisation for Research and Treatment of Cancer consensus recommendations for the treatment of mycosis fungoides/Sézary syndrome - Update 2017. *European Journal of Cancer.* 2017;77:57-74
23. Willemze R, et al. The 2018 update of the WHO-EORTC classification for primary cutaneous lymphomas. *Blood.* 2019;133(16):1703-1714.
24. Orphanet. Prevalence and incidence of rare diseases: Bibliographic data. Januari 2021. Geraadpleegd in februari 2022, van [https://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/Prevalence\\_of\\_rare\\_diseases\\_by\\_alphabetical\\_list.pdf](https://www.orpha.net/orphacom/cahiers/docs/GB/Prevalence_of_rare_diseases_by_alphabetical_list.pdf)
25. Cutaneous Lymphoma Foundation, Lymphoma Action and Lymphoma Coalition Europe. Cutaneous lymphoma - a patient's guide. 2019. Geraadpleegd in juni 2022, van <https://lymphoma-action.org.uk/sites/default/files/media/documents/2019-06/Cutaneous%20lymphoma%20-%20patient%26%23039%3Bs%20guide%20-%20English%20language%20source%20document%20-%20final%20version%20for%20publication%20-%20April%202019.pdf>
26. Demierre M-F, et al. Significant impact of cutaneous T-cell lymphoma on patients' quality of life. *Cancer.* 2006;107(10):2504-2511.
27. Wittesles, RM, Bokhari, S, Damy, T, et al. Screening for Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy in Everyday Practice. *JACC Heart failure.* 2019;7(8):709-16.
28. Ibidem
29. Ibidem
30. Maurer, MS, Schwartz, JH, Gundapaneni, B, et al. Tafamidis Treatment for Patients with Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy. *N Engl J Med.* 2018;379(11):1007-16.
31. Ibidem
32. Wittesles, RM, Bokhari, S, Damy, T, et al. Screening for Transthyretin Amyloid Cardiomyopathy in Everyday Practice. *JACC Heart failure.* 2019;7(8):709-16.
33. Belgian Cancer Registry 2018
34. Palumbo A, A.-L. H. (2015). Revised International Staging System for Multiple Myeloma: A report from International Myeloma Working Group. *Journal of clinical oncology: official journal of the American Society of Clinical Oncology.* 33(26):2863-286
35. Facon T, K.S.K (2021) Daratumumab, lenalidomide, and dexamethasone versus lenalidomide and dexamethasone alone in newly diagnosed multiple myeloma (MAiA); overall survival results from a randomised, open-label, phase 3 trial. *Lancet Oncol.* online gepubliceerd op 13 oktober
36. Mateos MV, C.M. (2019) Overall survival with daratumumab, bortezomib, melphalan, and prednisone in newly diagnosed multiple myeloma (ALCYONE): a randomised, open-label, phase 3 trial. *The Lancet.* online gepubliceerd op 9 december
37. Gries K, F. J. (2018). Health-related Quality of Life in patients with Newly Diagnosed Multiple Myeloma Who Are Ineligible for Stem Cell Transplantation: Results from the ALCYONE Trial. ASCO, (p. 8042). Chicago
38. Perrot A, F. T. (2019). Faster & Sustained Improvement in Health-related Quality of Life in Transplant-ineligible Newly Diagnosed Multiple Myeloma Patients Treated With Daratumumab, Lenalidomide & Dexamethasone (D-RD) vs Rd: MAiA. EHA Annual Congress (p. PF603). Amsterdam: EHA
39. Johnsen AT, T. D. (2009). Health related quality of life in a nationally representative sample of haematological patients. *European Journal of Haematology.* 83, 139-148
40. Mateos MV, N. H. (2020). Subcutaneous versus intravenous in patients with relapsed or refractory multiple myeloma (COLUMBA): a multicenter, open-label, non-inferiority, randomised, phase 3 trial. *The Lancet.* online gepubliceerd op 23 maart
41. Belgian Cancer Registry, 2020
42. Lorusso et al. Spotlight on olaparib in the treatment of BRCA-mutated ovarian cancer: design, development and place in therapy. *Drug Des Devel Ther.* 2018;12:1501-1509
43. Millet et al. ESMO recommendations on predictive biomarker testing for homologous recombination deficiency and PARP inhibitor benefit in ovarian cancer. *Annals of oncology* 2022; Vol30
44. González-Martin A, et al. *N Engl J Med* 2019;381:2391-402.
45. González-Martin A, et al. presented at ESMO 2022 (Presentation 530P), 9-13 Sep, Paris, France.
46. González-Martin A, et al. *N Engl J Med* 2019;381:2391-402.
47. Samenvatting van de productkenmerken, juli 2022 (de link naar de SmPC kan je opvragen via info@pharma.be)
48. Ibidem
49. Bonkovsky HL et al. Pathogenesis and clinical features of the acute hepatic porphyrias (AHPs). *Molecular Genetics and Metabolism* 2019;128 (3):213-218.
50. Gilles A et al. Expert consensus statement on acute hepatic porphyria in Belgium. *Acta Clin Belg.* 2022;77(4):735-741.
51. Samenvatting van de productkenmerken, 2020 (de link naar de SmPC kan je opvragen via info@pharma.be)
52. Ventura P et al. ENVISION Investigators. Efficacy and safety of givosiran for acute hepatic porphyria: 24-month interim analysis of the randomized phase 3 ENVISION study. *Liver Int.* 2022 Jan;42(1):161-172.
53. Connolly MP et al. Estimating the broader fiscal consequences of acute hepatic porphyria (AHP) with recurrent attacks in Belgium using a public economic analytic framework. *Connolly et al. Orphanet J Rare Dis* 2021;16:346
54. Lloyd A, Piglowska N, Ciulla T, et al. Estimation of impact of RPE65-mediated inherited retinal disease on quality of life and the potential benefits of gene therapy. *Br J Ophthalmol.* Online gepubliceerd op 18 januari, 2019;bjophthalmol-2018-313089. doi:10.1136/bjophthalmol-2018-313089
55. Chung DC, Bertelsen M, Lorenz B, et al. The Natural History of Inherited Retinal Dystrophy Due to Biallelic Mutations in the RPE65 Gene. *Am J Ophthalmol.* 2019;199:58-70. doi:10.1016/j.ajo.2018.09.024
56. Russell S, Bennett J, Wellman JA, et al. Efficacy and safety of voretigene neparovec (AAV2-hRPE65v2) in patients with RPE65-mediated inherited retinal dystrophy: a randomised, controlled, open-label, phase 3 trial. *Lancet (London, England).* 2017;390(10097):849-860. doi:10.1016/S0140-6736(17)31868-8
57. Samenvatting van de productkenmerken, 2020 (de link naar de SmPC kan je opvragen via info@pharma.be)
58. Russell S, Bennett J, Wellman JA, et al. Efficacy and safety of voretigene neparovec (AAV2-hRPE65v2) in patients with RPE65-mediated inherited retinal dystrophy: a randomised, controlled, open-label, phase 3 trial. *Lancet (London, England).* 2017;390(10097):849-860. doi:10.1016/S0140-6736(17)31868-8
59. Anderton RS and Mastaglia FL. *Expert Rev Neurother.* 2015;15(8):895-908, *Advances and challenges in developing a therapy for spinal muscular atrophy.pdf*

60. Finkel RS, McDermott MP, Kaufmann P, et al. Observational study of spinal muscular atrophy type I and implications for clinical trials. *Neurology*. 2014;83(9):810-7. Observational study of spinal muscular atrophy type I and implications for clinical trials.pdf
61. Sugarman EA, Nagan N, Zhu H, et al. *Eur J Hum Genet*. 2012;20(1):27-32.4, Pan-ethnic carrier screening and prenatal diagnosis.pdf
62. Kolb SJ, Coffey CS, Yankey JW, et al. *Ann Neurol*. 2017;82(6):883-891, Natural History of Infantile-Onset Spinal Muscular Atrophy (nih.gov).pdf
63. STRIVE-US, STRIVE-EU, START, START LFTU, SPRINT, SAFETY and RESTORE clinical data on file, STRIVE data: <https://www.zolgensma-hcp.com/clinical-experiences/strive-trial-efficacy/>, START data: <https://www.zolgensma-hcp.com/clinical-experiences/start-trial-efficacy/>, START LFTU data: <https://www.zolgensma-hcp.com/clinical-experiences/start-long-term-follow-up-study-efficacy/>, SPRINT data: <https://www.zolgensma-hcp.com/clinical-experiences/sprint-trial-efficacy/>, SAFETY data: <https://www.zolgensma-hcp.com/about-zolgensma/safety/>, early findings on RESTORE registry were presented on the MDA conference: <https://mdaconference.org/node/1156> and <https://mdaconference.org/node/1156>
64. Blood & Beyond rapport <https://www.bloodandbeyond.com/blood-and-beyond-report/>
65. Fenoux et al. *N Engl J Med* 2020; 382:140 – 151
66. Cappellini et al. *N Engl J Med* 2020; 382:1219 – 1231
67. <https://www.sciensano.be/fr/sujets-sante/influenza/chiffres>
68. Gavazzi G, Mosnier A, Crepey P, Gaillat J. Vaccin grippal haute dose: un vaccin adapté aux 65 et plus. *Press Med Form*. 2022
69. Ibidem
70. Diaz Granados CA, Dunning JA, Jordanov E, et al. High-dose trivalent influenza vaccine compared to standard dose vaccine in elderly adults: Safety, immunogenicity and relative efficacy during the 2009–2010 season *Vaccine* 2013; 31:861–6; 2.
71. Lee J, Lam G, Shin T, Samson S, Greenberg D, Chit A, Efficacy and effectiveness of high-dose influenza vaccine in older adults by circulating strain and antigenic match: An updated systematic review and meta-analysis. *Vaccine* 2021; 39:A24-A35.
72. Kanis et al. *Arch Osteoporos* 2021;16:82
73. Lewiecki EM, et al. *J Bone Miner Res* 2019;34:419–28,
74. Saag KG, et al. *N Engl J Med* 2017;377:1417–27.
75. Hagino H, et al. *Osteoporosis International* 2021;32:2011–2021
76. Lipton R, et al. The family impact of migraine: population-based studies in the USA *Cephalalgia* 2003; 23: 229–240.
77. Moens G, et al. The prevalence and characteristics of migraine among the Belgian working population. 2007.
78. Gérardy PY, et al. Epidémiologie et répercussions économiques des céphalées : une enquête parmi le personnel administratif, technique et ouvrier (PATO) de l'ULg.
79. Bonte M. Etiologie van migraine: de perceptie van de patiënt, Masterproef voorgelegd tot het behalen van de graad Master in de Gezondheidsvoorlichting en – bevordering. 2012.
80. Torres-Ferrús M, Gallardo VJ, et al. The impact of anti-CGRP monoclonal antibodies in resistant migraine patients: a real-world evidence observational study. *J Neurol* 2021;268(3):3789–3798.
81. McDonald L, Lambrelli D, Wasiak R, et al. Real-world data in the United Kingdom: opportunities and challenges. *BMC Med* 2016;14:97.
82. Vernieri F, Altamura C, Brunelli N, et al. Galcanezumab for the prevention of high frequency episodic and chronic migraine in real life in Italy: a multicenter prospective cohort study (the GARLIT study). *J Headache Pain* 2021;22:35
83. <https://www.vrt.be/vrtnws/nl/2021/06/01/drie-dure-preventieve-geneesmiddelen-tegen-zware-migraine-terug/>
84. Zou, W., Wolchok, J. D. & Chen, L. PD-L1 (B7-H1) and PD-1 pathway blockade for cancer therapy: mechanisms, response biomarkers, and combinations. *Sci. Transl Med*. 8, 328rv324 (2016).
85. Topalian, S. L., Taube, J. M., Anders, R. A. & Pardoll, D. M. Mechanism-driven biomarkers to guide immune checkpoint blockade in cancer therapy. *Nat. Rev. Cancer* 16, 275–287 (2016).
86. Samenvatting van de productkenmerken, 21 oktober 2022, (de link naar de SmPC kan je opvragen via [info@pharma.be](mailto:info@pharma.be))
87. Akira S, Taishi T, and Shigeo N. An Update on the Pathology and Molecular Features of Hodgkin Lymphoma. *Cancers (Basel)*. 2022 Jun; 14(11): 2647.
88. Younes, A., et al. Results of a pivotal phase II study of brentuximab vedotin for patients with relapsed or refractory Hodgkin's lymphoma. *J Clin Oncol*. 2012. 30(18): p. 2183-9.
89. Beschikbare gegevens op te vragen via [info@pharma.be](mailto:info@pharma.be)
90. Drilon, A., et al. Efficacy of Larotrectinib in TRK Fusion-Positive Cancers in Adults and Children. 2018. 378(8): p. 731-739.
91. Stransky, N., et al. The landscape of kinase fusions in cancer. *Nat Commun*. 2014. 5: p. 4846.
92. Samenvatting van de productkenmerken, september 2022 (de link naar de SmPC kan je opvragen via [info@pharma.be](mailto:info@pharma.be))
93. Ibidem
94. Belgian Cancer Registry 2022. Incidence, Prevalence and Relative Survival of Diffuse Large B-cell Lymphoma (DLBCL) in Belgium, 2019.
95. Pasqualucci L, et al. The genetic landscape of diffuse large B-cell lymphoma. *Semin Hematol*. 2015 Apr;52(2):67-76. doi: 10.1053/j.seminhematol.2015.01.005. Epub 17 januari 2015.
96. Crump M, et al. Outcomes in refractory diffuse large B-cell lymphoma: results from the international SCHOLAR-1 study. *Blood*. 2017;130(16):1800-8.
97. Jacobson C, et al. Long-term (5 year) overall survival in Zuma-1, the pivotal study of axi-cabtagene ciloleucel in patients with refractory large B-cell lymphoma. Voorgesteld op: 2022 Tandem Meeting; april 23–26, 2022; Salt Lake City, UT. Abstract 10.
98. CF Foundation 2022, <https://www.cff.org/intro-cf/about-cystic-fibrosis>
99. Sciensano, Annual Report Belgian Cystic Fibrosis Registry (BCFR 2019) [www.sciensano.be](http://www.sciensano.be)
100. O'Sullivan and Freedman, *Lancet* 2009; 373: 1891–904.
101. Taylor-Cousar et al. Clinical development of triple combination CFTR modulators for cystic fibrosis patients with one or two F508del alleles. *ERJ Open Res* 2019; 5: 00082-2019 <https://doi.org/10.1183/23120541.00082-2019>
102. Dwight & Marshall, *J Manag Care Spec Pharm*. 2021; 27(2):281-84.
103. [https://www.nieuwsblad.be/cnt/dmf20221002\\_95608313](https://www.nieuwsblad.be/cnt/dmf20221002_95608313)
104. *De Morgen*, 21/9/2022
105. Eigen berekeningen van [pharma.be](http://pharma.be) op basis van F. Verschaeve, N. Vanlaer, S. Vander Mijnsbrugge, J. Tjigtgat, J.K. Schwarze, G. Awada, J. Kessels, S. Aspeslagh, W. Cools, A. Rogiers, B. Neyns, Incidence of metachronous malignancies in advanced melanoma patients treated with immune checkpoint blockade, 2022
106. Cohen, Joshua T., James D. Chambers, Madison C. Silver, Pei-Jung Lin, and Peter J. Neumann. 2019. 'Putting The Costs And Benefits Of New Gene Therapies Into Perspective'. *Health Affairs*. 4 September 2019. <https://www.healthaffairs.org/doi/10.1377/hblog20190827553404/full/>.
107. Chambers, J., M. C. Silver, P. J. Lin, J. T. Cohen, C. Paramore, S. Baumann, and P. J. Neumann. 2019. 'PMU77 CELL AND GENE THERAPIES ARE ASSOCIATED WITH SUBSTANTIALLY LARGER QUALITY-ADJUSTED LIFE YEAR GAINS THAN CONVENTIONAL DRUGS AND BIOLOGICS'. *Value in Health* 22 (May): S263. <https://doi.org/10.1016/j.jval.2019.04.1238>.
108. Wong, Chi Heem, Dexin Li, Nina Wang, Jonathan Gruber, Rena Conti, and Andrew W. Lo. 2020. 'Estimating the Financial Impact of Gene Therapy'. *MedRxiv*, October, 2020.10.27.20220871. <https://doi.org/10.1101/2020.10.27.20220871>
109. STEM is de afkorting voor Science, Technology, Engineering & Mathematics.
110. De Sunshine Act is de wetgeving die de bedrijven die in België geneesmiddelen of medische hulpmiddelen op de markt brengen, verplicht de premies en voordelen die zij geven aan personen die geneesmiddelen voorschrijven, afleveren of toedienen (inclusief ziekenhuizen) evenals aan patiëntorganisaties, te melden aan het FAGG.
111. Bron: <https://betransparent.be/nl/vijfde-openbaarmaking-van-de-samenwerking-tussen-bedrijven-zorgverstrekkers-zorginstellingen-en-patientenverenigingen/>
112. [https://www.fagg.be/nl/MENSELIJK\\_gebruik/geneesmiddelen/geneesmiddelen/onderzoek\\_ontwikkeling/gebruik\\_in\\_schrijvende\\_gevallen\\_medische\\_noodprogramma](https://www.fagg.be/nl/MENSELIJK_gebruik/geneesmiddelen/geneesmiddelen/onderzoek_ontwikkeling/gebruik_in_schrijvende_gevallen_medische_noodprogramma)
113. [https://assets.vlaanderen.be/image/upload/v1636361168/EU\\_statistieken\\_Belgie\\_2020\\_u9q5r.pdf](https://assets.vlaanderen.be/image/upload/v1636361168/EU_statistieken_Belgie_2020_u9q5r.pdf)
114. Rode antibiotica zijn antibiotica die zeer belangrijk zijn voor de behandeling van bacteriële infecties bij de mens.
115. Makady et al., 2017

## Dankwoord

*Dit Report to Society zou niet mogelijk zijn geweest zonder de medewerking van de pharma.be collega's die mee voor de inhoud zorgden en de opeenvolgende drukversies zorgvuldig nalazen, de pharma.be leden die voor een beschrijving zorgden van hun nieuw terugbetaalde geneesmiddelen, de stakeholders die bereid waren een quote aan te leveren, Conny Van Gheluwe van info@sproke die instond voor de copy-writing en dotWEB voor de lay-out van dit rapport.*

pharma.be  
ALGEMENE VERENIGING VAN DE GENEESMIDDELENINDUSTRIE

pharma.be vzw

Glaverbel Building | Terhulpssteenweg 166 | 1170 Brussel | 02 661 9111

info@pharma.be | www.pharma.be