

Focus op
**KLINISCH
ONDERZOEK**
in België

2024



pharma.be
ALGEMENE VERENIGING VAN DE GENEESMIDDELENINDUSTRIE



Zo veel mogelijk patiënten kansen geven deel te nemen aan klinisch onderzoek

Uit de jaarlijkse studie die Deloitte in opdracht van pharma.be uitvoert, blijkt dat België goed is voor 474 vergunde klinische studies in 2022. 20 % van al de Europese klinische studies van kankergeneesmiddelen vindt plaats in België. Bedrijven in ons land investeren per dag ruim 15 miljoen euro in onderzoek en ontwikkeling, waar klinische studies een groot deel van uitmaken.

Deelnemen aan een klinische studie is de eerste kans die een patiënt krijgt om de potentiële voordelen van een nieuwe, innovatieve behandeling te benutten. Voor sommige patiënten, die op die manier toegang krijgen tot een behandeling voor hun ziekte, kan dit hun leven verlengen of kwalitatiever maken. Daar waar zulke behandeling nog niet eerder bestond en er soms geen alternatief bestaat. Het is deze menselijke impact die er écht toe doet. En daarom streeft pharma.be ernaar om de sterke positie die België vandaag in Europa bekleedt, te behouden.

De evolutie naar een meer inclusieve omgeving voor klinische studies in België is een onmiskenbare opportuniteit, maar brengt ook een aantal uitdagingen met zich mee: de mobiliteit van de deelnemers, het gebrek aan vertrouwen in medisch onderzoek door een gebrek aan kennis en onwetendheid over klinische studies, sociale en economische barrières en taal- en cultuurverschillen die de communicatie kunnen belemmeren. De implementatie van een reeks beste praktijken door de autoriteiten en bedrijven garandeert vooruitgang op lange termijn.

Het is belangrijk dat ons land een voortrekkersrol blijft spelen op het gebied van klinische studies, in het bijzonder door meer flexibiliteit te bieden met de invoering van gedecentraliseerde klinische studies. Ook moeten autoriteiten voorspelbare, consistente en efficiënte goedkeuringstermijnen kunnen garanderen voor de start van klinische studies in ons land. Het delen van data en een intensieve dialoog tussen regelgevende instanties, ziekenhuizen en de farmaceutische industrie is cruciaal.

We werken tenslotte gezamenlijk in het belang van de patiënt.

Caroline Ven
CEO pharma.be

Innovatieve geneesmiddelen, vaccins of andere behandelingen die nu beschikbaar zijn voor patiënten, zijn het resultaat van vele jaren klinisch onderzoek en ontwikkeling

Klinische studies zijn complex en worden strikt gereguleerd en kunnen gemakkelijk tussen de 10 en 12 jaar duren. Deze studies zijn heel cruciaal in het testen van potentiële innovatieve geneesmiddelen op doeltreffendheid, veiligheid en tolerantie. Ze onderzoeken ook mogelijke interacties met andere geneesmiddelen, de meest geschikte manier van toediening aan patiënten en de optimale dosering. Bovendien kunnen klinische studies waardevolle inzichten opleveren in de specifieke patiëntenpopulaties die het meest baat hebben bij de behandeling.

Voordat een potentieel geneesmiddel kan toegediend worden aan een patiënt, worden duizenden verschillende moleculen en combinaties van moleculen onderzocht en worden er een paar honderd preklinisch getest. Uit dit grote aantal wordt slechts een tiental van de meest belovende moleculen gekozen om klinisch onderzocht te worden.

Het is echter belangrijk om te weten dat de kans op slagen in deze onderzoeken vrij klein is. Eigenlijk zal slechts ongeveer 10 % van de geteste geneesmiddelen het volledige klinische studieprogramma succesvol afronden en doorgaan naar registratie op de markt.

De verschillende fasen van een klinische studie

Dit volledige studieprogramma kan worden onderverdeeld in verschillende fasen:



PREKLINISCH

- De moleculen testen bij dieren, een veilige dosering bepalen voor een 'First-in-human'-studie en de veiligheid en toxiciteit van de moleculen beoordelen.



FASE 1

enkele tientallen
vrijwilligers

- Deze studies worden uitgevoerd op enkele tientallen personen, meestal gezonde vrijwilligers, om de opname van de nieuwe geteste moleculen in het lichaam stap voor stap te analyseren en eventuele ongewenste effecten op te sporen. De beoordeling van veiligheid en tolerantie zijn de belangrijkste doelstellingen van studies in fase 1.



FASE 2

Een paar honderd
patiënten

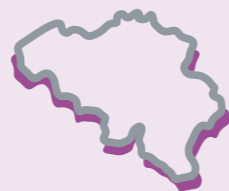
- Deze studies worden uitgevoerd op een paar honderd patiënten die aan bepaalde criteria voldoen om de doeltreffendheid en de optimale dosering van de moleculen te bepalen.



FASE 3

een paar duizend
patiënten

- Grootschalige studies met een paar duizend patiënten die aan bepaalde criteria voldoen om de resultaten van de vorige studies op grote schaal te bevestigen. Het doel van fase 3 is om te bevestigen dat het kandidaat-geneesmiddel werkzaam en veilig is voor een grotere groep patiënten.
- Een vergelijking van het nieuwe geneesmiddel met een placebo¹ (een inactieve stof) of indien mogelijk, met een bestaande behandeling (wordt normaal de 'standaardbehandeling' genoemd).
- Als fase 3 succesvol is, worden de resultaten geëvalueerd door het Europees Geneesmiddelenbureau dat zal beslissen of voor het nieuwe geneesmiddel al dan niet een vergunning wordt verleend om het in de handel te brengen.



FASE 4

werkelijk gebruik
na lancering op
de markt

- Deze studies worden uitgevoerd nadat een geneesmiddel de vergunning voor het in de handel brengen heeft verkregen. Sommige studies blijven de nieuwe behandeling testen, anderen observeren het gebruik bij patiënten in de dagelijkse praktijk. Zo willen ze meer te weten komen over (zeldzame) bijwerkingen; risico's en voordelen op lange termijn; risico's en voordelen bij groepen patiënten die niet in de studie van fase 3 zijn opgenomen; hoe het geneesmiddel is in vergelijking met alternatieve behandelingen, enz.

De verschillende betrokken partijen in een klinische studie

Naast de patiënten zijn er verschillende partijen betrokken bij het opstarten en uitvoeren van een klinische studie.

- › het farmaceutische bedrijf dat het geneesmiddel ontwikkelt en **sponsor** is van het onderzoek;
- › de arts die deelneemt aan het onderzoek en die de **onderzoeker** is;
- › de **gezondheidsautoriteiten** en het **Ethisch Comité** in het land of de landen waar de studie wordt uitgevoerd, die elke klinische studie moeten beoordelen. Elke klinische studie moet in elke fase door beide regelgevende instanties worden goedgekeurd vooraleer deze mag opgestart worden^{2,3,4}.

Video van het Europees Geneesmiddelenbureau over klinische studies in de Europese Unie (in het Engels):

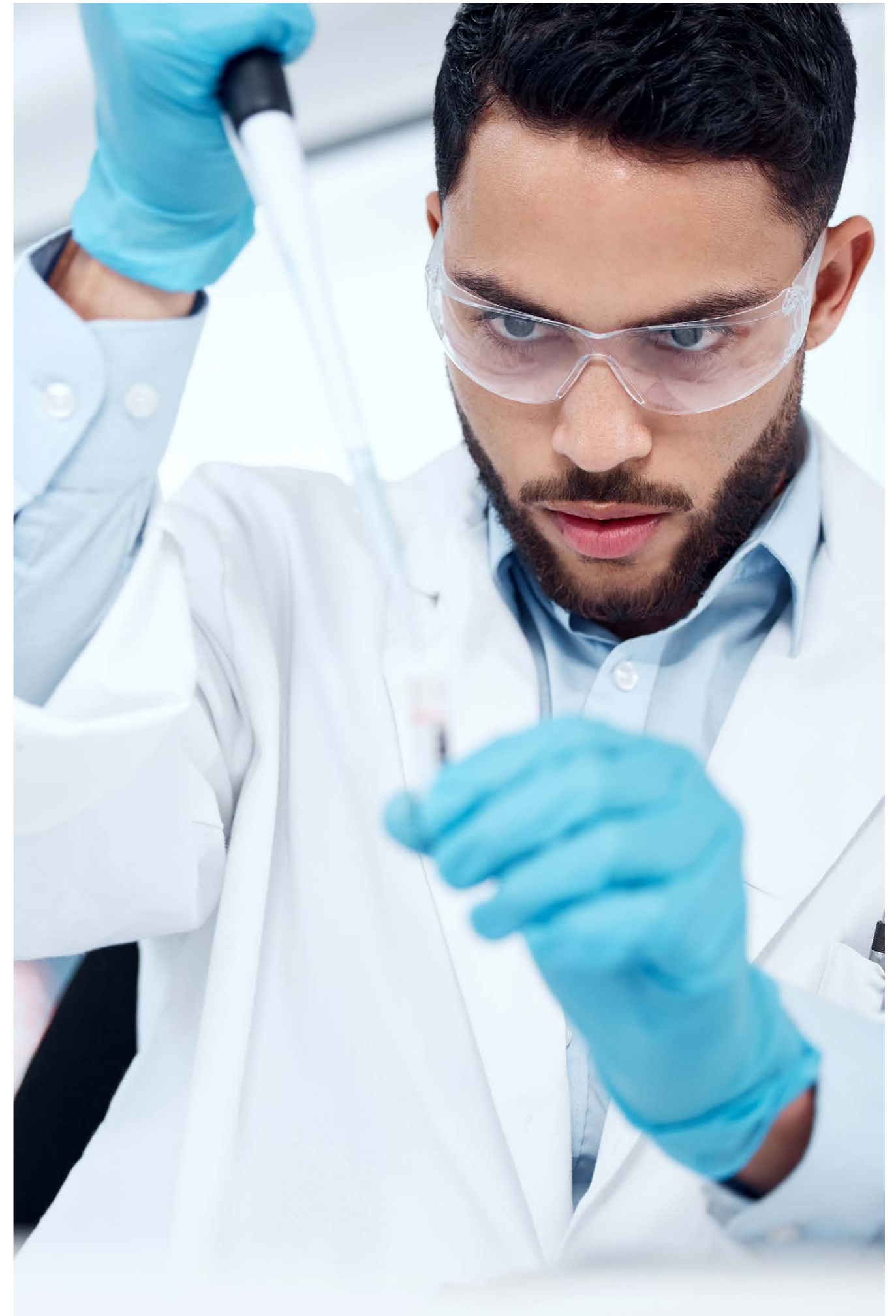


De opkomst van nieuwe manieren voor het ontwerpen van klinische studies

Vandaag zijn er steeds meer nieuwe en innovatieve, maar complexere manieren om klinische studieprotocollen op te stellen. Deze nieuwe aanpak voor het ontwikkelen van een studie vereist een nauwe samenwerking tussen sponsors, onderzoekers en patiëntenorganisaties. Het doel is om de efficiëntie van klinische studies (in alle fasen) te versnellen en te verhogen, waarbij de kwaliteit behouden blijft.

Een voorbeeld daarvan is het gebruik van nieuwe technologieën voor het in realtime vastleggen van patiëntgegevens tijdens het onderzoek, maar ook het gebruik van gegevens uit het verleden als vergelijking. Hierdoor is er minder nood aan een controlegroep met placebo (een inactieve stof).

Uiteindelijk komen deze nieuwe aanpakken ten goede aan de patiënten, ongeacht of ze deelnemen aan de studies zelf of achteraf toegang hebben tot de behandeling.





In klinische studies zijn diversiteit, gelijkheid en inclusiviteit essentieel

Deze principes zorgen voor een grote verscheidenheid aan demografische kenmerken bij deelnemers in het onderzoek, waaronder factoren als ras, etniciteit, geslacht, leeftijd, sociaaleconomische status en andere relevante kenmerken. Het is belangrijk dat de sponsor van een studie, bij goedkeuring, deelnemers met verschillende achtergronden includeert om een nauwkeurige weergave te krijgen van potentiële gebruikers van geneesmiddelen. Bovendien zorgt het diversifiëren van de deelnemers voor meer innovatieve behandelingen, vooral voor minderheidsgroepen die in het verleden mogelijk werden uitgesloten.

Zowel in België als in Europa zijn er verschillende platformen beschikbaar waar alle lopende studies kunnen worden geraadpleegd. Vaak worden patiënten echter via hun arts of patiëntenorganisatie op de hoogte gebracht over een nieuw onderzoek. Als een patiënt interesse heeft voor deelname aan een klinische studie, kan de arts het doel van de studie en de mogelijke voordelen uitleggen. De arts wijst er dan ook op dat deze voordelen niet gegarandeerd kunnen worden en dat er bijwerkingen kunnen optreden doordat het nieuwe geneesmiddel zich nog in het onderzoeksstadium bevindt. Daarnaast controleert de arts of de patiënt voldoet aan alle inclusie- en exclusiecriteria die in het studieprotocol vermeld staan voor deelname aan de studie.

Platformen met meer informatie over klinische studies en een overzicht van de lopende klinische studies in België en Europa:

Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten:



Europese register van klinische proeven (in het Engels):



Databank Klinische Proeven:



Esperity:

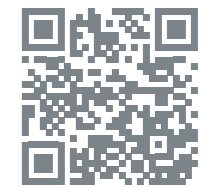


De Federale Overheidsdienst Volksgezondheid, Veiligheid van de Voedselketen en Leefmilieu gaf een brochure uit met algemene informatie voor volwassen patiënten die wensen deel te nemen aan een klinische studie waarin een geneesmiddel wordt onderzocht.

Raadpleeg hier de brochure:



Algemene informatie over klinisch onderzoek vind je op de website van EUPATI:

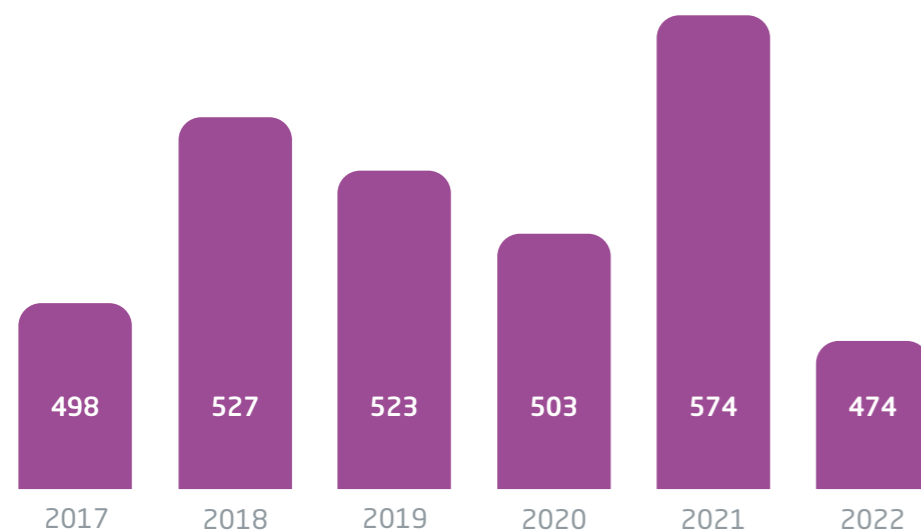


Een lange geschiedenis van klinisch onderzoek in België

België heeft een uniek gezondheidsecosysteem waarin klinisch onderzoek kan gedijen. Dankzij een gedeelde visie en samenwerking tussen de regelgevers, de industrie, de onderzoekers, en de overheid staat België op de kaart als wereldleider voor het uitvoeren van klinische studies. De samenwerking tussen de verschillende partijen maakt van België een voorbeeldland in Europa. Met 474 nieuwe toelatingen van klinische studies in 2022 staat België in de top 3 van Europese landen wat het aantal goedgekeurde klinische studies per inwoner betreft.

Dankzij dit leiderschap heeft België doorheen de jaren een cruciale rol gespeeld in de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen en geavanceerde behandelingen. België is bijvoorbeeld het eerste land in Europa dat de eerste klinische studie met CAR-T (een celtherapie) heeft uitgevoerd voor de behandeling van kanker. België heeft ook een belangrijke rol gespeeld in het klinisch onderzoek naar COVID-19-vaccins.

Aantal goedgekeurde aanvragen voor klinische studies



Bron: gegevens Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten

In België worden de meeste klinische studies (ongeveer 80 %) opgestart door farmaceutische bedrijven. De overige 20 % zijn klinische studies die worden uitgevoerd door universiteiten of academische centra.

België moet het concurrentievermogen van zijn unieke omgeving voor klinische studies behouden

Het behoud van de unieke omgeving voor klinische studies in België en de verbetering van de concurrentiepositie zijn van cruciaal belang voor de toekomst van het medisch onderzoek in ons land. De troeven van België op vlak van wetenschap, regelgeving en testfaciliteiten zijn algemeen gekend. Nu er echter in de hele Europese Unie gestandaardiseerde regelgeving systemen voor klinische studies werden opgesteld, bestaat de kans dat België in de toekomst minder aantrekkelijk wordt voor studies. België moet zich onderscheiden en zijn troeven uitspelen om zijn positie te behouden. Hierdoor kan België toponderzoekers en industriële partners blijven aanspreken en in de koploperspositie van klinisch onderzoek en ontwikkeling blijven.



Eigen aan België: de focus op de expertise in vroege fase studies

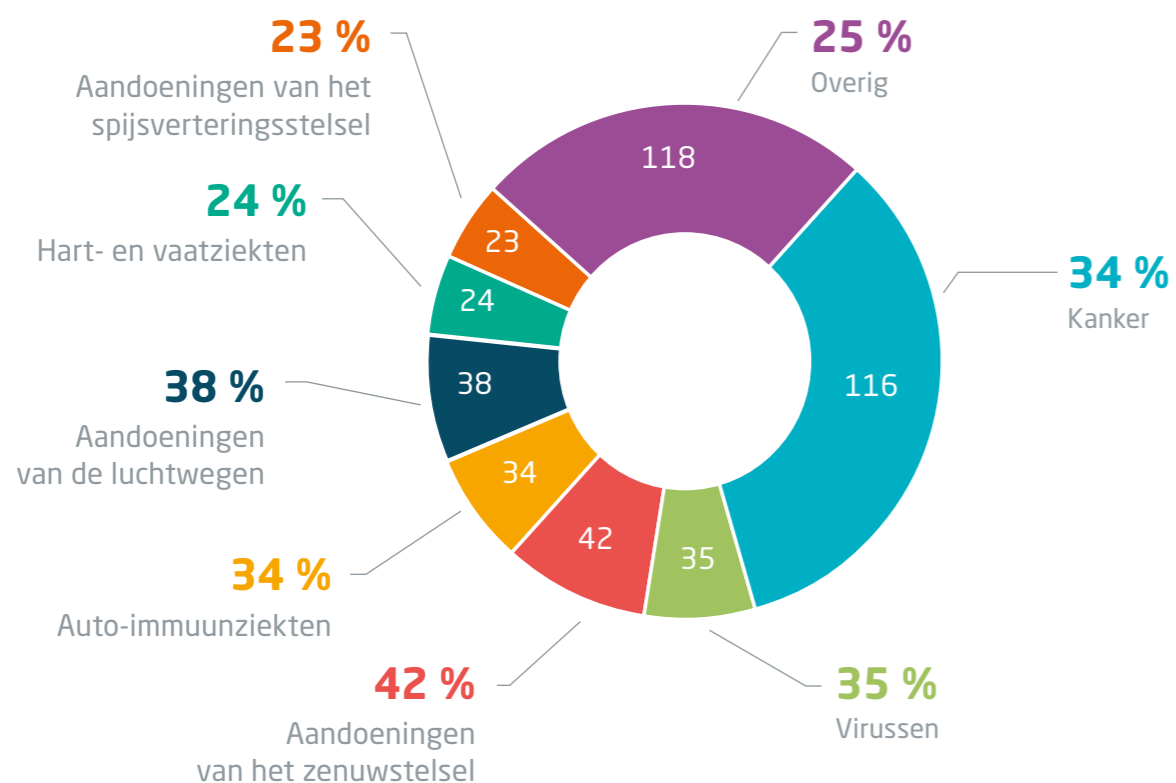
België heeft veel ervaring in het domein van de vroege fasen van de ontwikkeling van geneesmiddelen. Deze wereldwijde expertise hebben we aan verschillende factoren te danken. Ten eerste, een gunstig regelgevend kader met specifieke kortere termijnen voor de goedkeuring van studies in fase 1, die enkel in België worden uitgevoerd, door de bevoegde instanties en het ethisch comité. Ten tweede beschikt het Belgisch Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten over een solide expertise als het gaat om de uitvoering van de vroege fasen van geneesmiddelenontwikkeling. Hierdoor kan het farmaceutische bedrijven ondersteunen in hun eerste klinische ontwikkelingsprogramma's.

In 2022 was 22,3 % van de goedgekeurde studies in België studies in fase 1. Het aandeel fase 1-studies dat de voorbije jaren werd waargenomen, ligt iets hoger in vergelijking met negen andere Europese landen. Dit is grotendeels te danken aan een groeiend aantal First-in-Human-studies die in België zijn goedgekeurd. Deze studies testen voor het eerst een geneesmiddel in een menselijk lichaam. De studies in fase 1 en *First-in-Human* worden uitgevoerd in gespecialiseerde eenheden. In België zijn er acht gespecialiseerde eenheden van fase 1 die studies uitvoeren bij gezonde vrijwilligers. Er zijn echter ook heel wat ziekenhuisafdelingen die studies van fase 1 bij patiënten kunnen uitvoeren. Een groot deel van de inhoud van de bijsluiter van een geneesmiddel komt uit de resultaten van het fase 1 onderzoek.

Een groot aantal therapeutische domeinen vallen onder het klinisch onderzoek in België

De klinische studies die in België worden uitgevoerd, omvatten bijna alle therapeutische domeinen met een aanzienlijke expertise in oncologie. Bijna 20 % van het onderzoek naar kanker in Europa wordt uitgevoerd in België. Dit toont ook de grote impact aan van België op het klinisch onderzoek in Europa.

Aandeel aanvragen klinische studies volgens ziekte domein



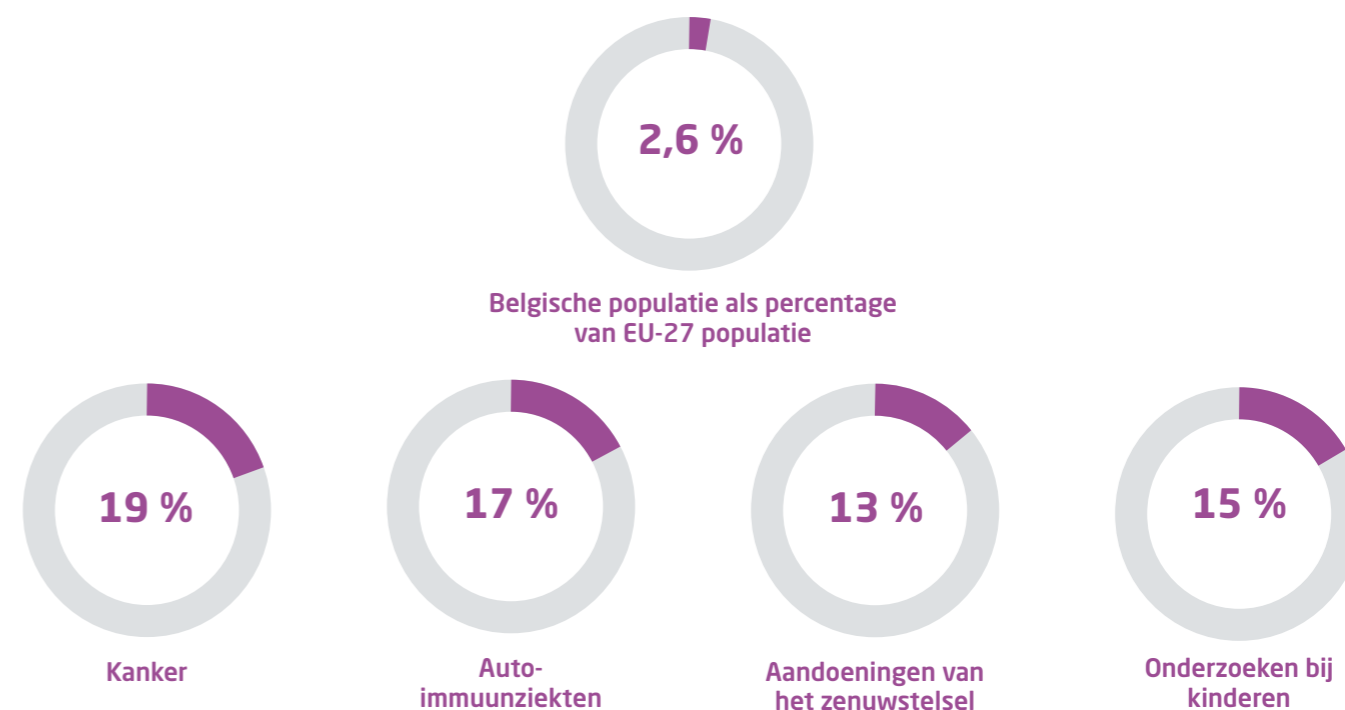
Bron: Deloitte rapport "Belgium as clinical trial location in Europe - key results 2022"

Klinisch onderzoek naar kanker in België

Ons land speelt een grote rol in het wereldwijde onderzoek naar nieuwe behandelingen in de oncologie. Heel wat geneesmiddelen en geavanceerde behandelingen voor kanker zijn ontwikkeld of getest in België. Bovendien dragen onderzoekers, die deelnemen aan klinische studies in de oncologie, actief bij aan het verbeteren van de prognose van patiënten (zie bijvoorbeeld de studie *CLEOPATRA in Breast Cancer*, Swain S. et al, ESMO 2014). Meer dan 34 % van de nieuw goedgekeurde studies in 2022 had betrekking op onderzoek tegen kanker, wat neerkomt op bijna drie nieuwe goedgekeurde studies per week.

De opmerkelijke impact van België op het gebied van klinische studies in Europa

Aandeel Europese klinische testen uit de geselecteerde studies uitgevoerd in België in vergelijking met het aandeel van de Belgische populatie in Europa (2022)



Bron: Deloitte rapport "Belgium as clinical trial location in Europe - key results 2022"

Focus op zeldzame ziekten en pediatrisch onderzoek

Een ziekte wordt als zeldzaam beschouwd als minder dan 5 op de 10.000 mensen eraan lijden. Er zijn echter heel veel verschillende zeldzame ziekten en ongeveer 1 op de 17 mensen in Europa lijdt aan een slopende zeldzame ziekte. Daarom is het onderzoek naar en de ontwikkeling van effectieve behandelingen voor deze zeldzame ziekten een enorme uitdaging. 24 % van de goedgekeurde klinische studies in 2022 in België was in het domein van zeldzame ziekten, wat neerkomt op 122 nieuwe studies.

Kinderen zijn een unieke populatie met duidelijke ontwikkelings- en fysiologische verschillen in vergelijking met volwassenen. Daarom zijn klinische studies bij kinderen essentieel om leeftijds-specifieke behandelingen te ontwikkelen en de best beschikbare medische behandeling te verbeteren. In 2022 was 8 % van de nieuw goedgekeurde klinische studies pediatrisch onderzoek. Dit aandeel is de afgelopen jaren toegenomen.

Meer weten over België en zijn klinische onderzoeken? Raadpleeg de laatste edities van het verslag van Deloitte "Belgium as clinical trial location in Europe", op de website van pharma.be:



België is een koploper in de kern van het systeem

België is met meer dan 70 ziekenhuizen, waaronder 7 academische ziekenhuizen, 12 universiteiten met internationaal gerenommeerde biowetenschappelijke afdelingen en onderzoeksteams, 14 biotechnologiebedrijven-incubatoren en meer dan 50 farmaceutische bedrijven die actief zijn in klinisch onderzoek⁶, een koploper in heel Europa.

Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten met een sterke expertise

De sterke technische expertise en het wetenschappelijk advies van het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten stelt de sponsors van klinische studies in staat om cruciale vragen aan te pakken, zelfs vroeg in het evaluatieproces. De haalbaarheid van het onderzoek wordt meer voorspelbaar voor de sponsors en het wordt transparanter en duidelijker voor hen hoe ze de volgende stappen moeten nemen. De medewerkers van het Federaal Agentschap zijn ook goed vertegenwoordigd in de verschillende werkgroepen van het Europees Geneesmiddelenbureau, wat goed is voor België om kennis op te doen, strategische keuzes te maken en leiderschapskansen te creëren.

Het National Innovation Office van het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten

Het National Innovation Office van het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten werd opgericht om innovatie in farmaceutisch onderzoek en ontwikkeling in België en de communicatie met de innovatoren te bevorderen en te ondersteunen. Het National Innovation Office is bedoeld als centrale toegangspoort tot de bestaande wetenschappelijke en regulatoire expertise van het Federaal Agentschap voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik en voor behandelingen. Het National Innovation Office is toegankelijk voor farmaceutische bedrijven, kleine en middelgrote ondernemingen, academische onderzoekscentra, spin-off bedrijven, academische ziekenhuizen en particulieren die actief zijn betrokken bij farmaceutische innovatie in het algemeen en bij onderzoek en ontwikkeling naar nieuwe geneesmiddelen en therapieën in het bijzonder. De drie belangrijkste activiteiten zijn wetenschappelijk, technisch en regulerend advies geven, algemene innovatie-activiteiten, ondersteuning voor kmo's en de academische sector.

Meer weten:



De kwaliteit van Belgisch onderzoek

Farmaceutische bedrijven in België hebben toegang tot een uitgebreid ziekenhuisnetwerk dat klinische diensten van topkwaliteit en goed opgeleid personeel biedt. De kwaliteit van de onderzoekscentra, de expertise van de onderzoekers en een sterke wil om samen te werken, worden allemaal zeer gewaardeerd en zijn belangrijke factoren voor sponsors die België kiezen om klinische studies uit te voeren. Door een intensieve samenwerking bouwen de farmaceutische sector, ziekenhuizen, universiteiten, en onderzoekscentra verder aan de sterke reputatie van België als dé bestemming voor klinisch onderzoek en ontwikkeling.

Wat levert het op voor de patiënt, de bevolking en de behandelende artsen?

Dankzij klinische studies kunnen mensen gratis toegang krijgen tot de nieuwste behandelingen die misschien niet beschikbaar zijn via traditionele middelen en die hun gezondheid en levenskwaliteit kunnen verbeteren. Hierdoor kunnen patiënten actief deelnemen aan het beheer van hun gezondheid en tegelijk een gevoel van doelgerichtheid krijgen door artsen en onderzoekers te helpen hun aandoening beter te begrijpen en zo bij te dragen aan betere behandelingen in de toekomst.

Welke voordelen heeft het onderzoeksmilieu in België?

Klinische studies dragen bij tot de ontwikkeling en verspreiding van wetenschappelijke kennis en innovatie in België. Belgische onderzoekers en onderzoekscentra blijven zo aan de top wat innovatieve behandelingen tegen ziekten zoals kanker, diabetes, en aandoeningen van het centrale zenuwstelsel betreft.

Wat is het voordeel voor de Belgische economie?

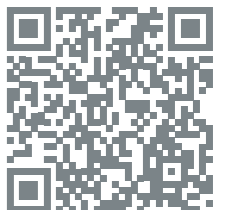
De Belgische farmaceutische sector is één van de meest intensieve onderzoeks- en ontwikkelingssectoren in België. Ons land investeerde ongeveer 5,7 miljard euro in onderzoek en ontwikkeling in 2023. Bovendien zorgen klinische studies voor werkgelegenheid in onderzoekscentra, universiteiten, en ziekenhuizen. In de Belgische farmaceutische sector waren in 2023 in totaal 6.706 onderzoekers actief.



Het is zeker altijd nuttig om deel te nemen aan klinische studies. Ik ben ervan overtuigd dat indien ik nooit was ingestapt in klinische studies, ik niet zou hebben mee geëvolueerd met de klinische wetenschap. Ik was één van de eersten die meegedaan heeft aan de studies met antilichamen. Naderhand is het bewezen dat deze geneesmiddelen een goede oplossing zijn. Als deelnemer aan de klinische studies heb ik al genoten van de wetenschappelijke vooruitgang nog voor de commercialisering van het geneesmiddel. Ik heb nu al het voordeel gehad van een geneesmiddel wat nog niet beschikbaar is voor andere mensen. Ik heb er geen spijt van dat ik aan klinische studies mee gedaan heb want ik ben er zeker van dat het dankzij die klinische studies is dat ik hier nu nog ben.

Jean-Pierre Blondeel, Patiënt en Voorzitter van Hodgkin & Non-Hodgkin vzw

Bekijk zijn
getuigenis:





In klinische studies worden gezondheidsgegevens gebruikt als basis voor het evalueren van de veiligheid en werkzaamheid van nieuwe behandelingen. Zonder deze informatie zorgvuldig te verzamelen en te bestuderen, is het moeilijk om te weten of een behandeling nuttig is of bepaalde risico's met zich meebrengt. Gegevens zijn niet alleen nodig om goedkeuring te krijgen van regelgevende instanties, ze zijn ook belangrijk om patiënten de beste zorg te kunnen bieden en om meer te weten te komen over het product dat wordt onderzocht. De beschikbaarheid en verzameling van gegevens zijn cruciaal in elke stap van de klinische studie. Van het ontwerp van de studie tot het vinden van deelnemers voor studies, tot de analyse van resultaten en het delen ervan met regelgevende instanties.

Het primaire gebruik van de gegevens verkregen in een klinische studie

Tijdens klinische studies verzamelen onderzoekers gegevens om te begrijpen hoe mensen reageren op behandelingen en om mogelijke bijwerkingen ervan te identificeren. Dat is het primaire gebruik van de gegevens verkregen in een klinische studie. Door deze gegevens te analyseren, leren onderzoekers waardevolle inzichten over het geneesmiddel, waardoor nieuwe behandelingen ontdekt kunnen worden. De gegevensanalyse wordt beoordeeld door een commissie die onafhankelijk is van de sponsor van de studie. Die commissie kan bepalen om de studie vroegtijdig te stoppen in geval van ernstige bijwerkingen of zeer positieve tussentijdse resultaten. Het verzamelen van gegevens vindt plaats in een zeer gecontroleerde omgeving, waardoor de nauwkeurigheid en betrouwbaarheid van de gegevens en de vertrouwelijkheid van patiëntgegevens gegarandeerd zijn. Deze elementen zijn essentieel voor een betrouwbaar proces in het genereren van gegevens voor de evaluatie van de doeltreffendheid en veiligheid van de behandeling.

Het secundaire gebruik van de gegevens verkregen in een klinische studie

De patiëntgegevens uit een studie kunnen ook worden gebruikt in verband met andere wetenschappelijke onderzoeks- en ontwikkelingsactiviteiten die hetzelfde geneesmiddel of vergelijkbare behandelingen, hetzelfde ziektegebied of andere gezondheidsproblemen kunnen omvatten. Dat is het secundaire gebruik van de gegevens verkregen in een klinische studie. Dit gebruik gebeurt opnieuw in een zeer gecontroleerde omgeving conform de wetgeving inzake gegevensbescherming en met de nodige informatie voor de deelnemer aan het onderzoek.

Lees de brochure "Zorg voor je data" van de Koning Boudewijnstichting voor meer informatie over gezondheidsgegevens:



Geavanceerde gegevensverzameling in klinische studies met behulp van nieuwe technologieën

In de afgelopen jaren is het landschap van klinische studies veranderd door de integratie van nieuwe technologieën, waarbij innovatieve methoden voor gegevensverzameling werden geïntroduceerd. Een voorbeeld hiervan is het gebruik van smartphone applicaties en mobiele medische toepassingen (mHealth). Met deze tools kunnen patiënten hun behandelingstraject actief van thuis uit volgen door verschillende gezondheidsgegevens bij te houden, zoals hun hartslag, fysieke activiteit, en medicatiegebruik. Dit komt bovenop de directe input van patiënten over de impact van de behandeling op hun levenskwaliteit, die wordt verkregen door het invullen van gestandaardiseerde vragenlijsten of gebruiksvriendelijke schaalverdelingen (zoals gegevens over pijn, vermoeidheid, enz.). Dankzij het gebruik van deze digitale en innovatieve tools, kunnen onderzoekers waardevolle inzichten verzamelen over hoe patiënten in realtime reageren op behandelingen, zonder dat ze daarvoor vaak naar het klinisch studiecentrum hoeven te gaan. Het is belangrijk op te merken dat er strikte privacymaatregelen worden genomen om de gegevens van patiënten te beschermen, wat vertrouwelijkheid en vertrouwen tijdens het hele klinische onderzoeksproces waarborgt. Deze evolutie in gegevensverzameling vergroot niet alleen de nauwkeurigheid en betrouwbaarheid van klinisch onderzoek, maar bevordert ook een patiëntgerichte zorgbenadering, waarbij patiënten een actieve rol spelen in het verbeteren van klinisch onderzoek en tegelijkertijd gepersonaliseerde zorg krijgen.



Wat is het verschil tussen gegevens verzameld in een klinische studie en *Real World Data*?

Real World Data zijn gegevens die te maken hebben met de effecten van ingrepen in de gezondheidszorg (veiligheid, doeltreffendheid, gebruik van middelen, enz.) die niet worden verzameld in het kader van gecontroleerde klinische studies. In tegenstelling tot gegevens die verzameld zijn in klinische studies, zijn *Real World Data* gegevens uit de echte wereld en weerspiegelen ze de diverse ervaringen van patiënten in de dagelijkse gezondheidszorg. *Real World Data* kunnen uit diverse bronnen worden gehaald, waaronder patiëntenregisters, elektronische medische dossiers, en administratieve databanken.

Real World Data kunnen nieuwe inzichten creëren, namelijk *Real World Evidence*, over een behandeling of een ziekte door anonieme gegevens van duizenden of zelfs miljoenen patiënten samen te brengen. Er kunnen dan zeldzame veiligheidssignalen worden opgepikt die ontsnapt zijn aan de beperkte kleine omgeving van een klinische studie. De werkzaamheid van een geneesmiddel bij bepaalde subpopulaties die zijn uitgesloten van de normale klinische studies, kan worden aangetoond. Bij zeldzame ziekten kan meer informatie bekend zijn over de onbeantwoorde medische behoeften, de patiënt, het behandeltraject of de frequentie van de ziekte. *Real World Data* kunnen in bepaalde gevallen worden gebruikt als controle om een geneesmiddel te evalueren dat in een klinische studie wordt getest om het aantal patiënten te beperken dat de nieuwe samenstelling niet krijgt of wanneer een placebo (= inactieve behandeling) onethisch is omdat het de zorgstandaarden zou beïnvloeden. *Real World Data* kunnen helpen bij het ontwerpen of plannen van klinische studies of de identificatie en selectie van patiënten voor studies vergemakkelijken.

Voor het gebruik van *Real World Data* is het essentieel dat deze gemakkelijk te vinden en toegankelijk zijn, alsook in systemen staan die onderling kunnen communiceren.

De Belgische overheid erkent het belang van *Real World Evidence* in de gezondheidszorg en richtte een speciale bevoegde autoriteit op, het Belgisch Gezondheidszorg Data-Agentschap, om het verdere gebruik van gezondheidsgegevens in wetenschappelijk onderzoek te vergemakkelijken.

Het initiatief #datasaveslives

Het verzamelen en gebruiken van patiëntgegevens is een belangrijk onderdeel van klinisch onderzoek. Van het verkrijgen van nieuwe inzichten over de geteste behandeling tot het ondersteunen van het ontwerp en de planning van de studie en het helpen bij het zoeken naar patiënten. Data Saves Lives is een initiatief van meerdere betrokken partijen met als doel het belang van gezondheidsgegevens bij patiënten en het publiek onder de aandacht te brengen, het inzicht in het gebruik ervan te verbeteren en een vertrouwde omgeving te creëren voor een dialoog tussen meerdere betrokken partijen over verantwoord gebruik en goede praktijken in heel Europa. Data Saves Lives organiseert en beheert een website waar relevante informatie en voorbeelden van goede praktijken over het gebruik van gezondheidsgegevens worden gedeeld en waar gebruiksvriendelijke materialen worden ontwikkeld over de basisconcepten van gegevensdeling, het gegevenstraject, en de geldende veiligheidsmaatregelen. Het initiatief heeft als doel een gestructureerd en zinvol debat te starten binnen de gemeenschap voor gezondheidsgegevens over verantwoord gebruik van gegevens en om visies op andere gegevensgerelateerde kwesties vast te leggen, te delen, en te bespreken.

Meer informatie over het initiatief #datasaveslives (in het Engels):



Opmerkingen en verwijzingen

- 1 Bij patiënten met ernstige ziekten zetten de patiënten hun behandeling voort en wordt het placebo aan hun behandeling toegevoegd
- 2 De Europese Verordening 536/2014, die van kracht is sinds 2022, bepaalt de evaluatie van een aanvraag voor klinische studies, samen met de toepasselijke nationale wetgeving
- 3 https://health.ec.europa.eu/medicinal-products/clinical-trials/clinical-trials-regulation-eu-no-5362014_en
- 4 Belgische wetgeving: wet van 7 mei 2017 betreffende klinische onderzoeken met geneesmiddelen voor menselijk gebruik
- 5 *"Belgium as clinical trial location in Europe - key results 2022"*, Deloitte report 2023
- 6 Farmaceutische bedrijven die lid zijn van pharma.be



pharma.be
ALGEMENE VERENIGING VAN DE GENEESMIDDELENINDUSTRIE