

## SYMPOSIUM WEESGENEESMIDDELEN – 7 DECEMBER 2006

### *Executive Summary*

Op dit ogenblik zijn er ongeveer 7000 zeldzame ziekten gekend. Dit zijn vaak ernstige en chronische aandoeningen die, volgens de Europese regelgeving, bij minder dan 5 op 10.000 Europeanen voorkomen. Dit betekent voor België een maximum van 5.000 patiënten per aandoening. Men schat dat er in Europa al snel 25 miljoen mensen – of zo'n 5% van de bevolking (patiënten en hun families) – op de één of andere manier worden geconfronteerd met een zeldzame ziekte.

Producten voor de behandeling, diagnose of preventie van deze aandoeningen worden weesgeneesmiddelen genoemd. Onderzoek naar en ontwikkeling van weesgeneesmiddelen zijn niet vanzelfsprekend vanwege de complexiteit van de ziekten en het beperkt aantal patiënten. Daardoor wordt de rentabiliteit van een dergelijk product vaak in vraag gesteld. Om ten dele aan deze problemen tegemoet te komen, vaardigde de Europese Unie in 2000 de 'verordening uit betreffende de erkenning van de weesgeneesmiddelen' (EG 141/2000). Deze stelt dat geneesmiddelen met het wezenstatuut kunnen rekenen op Europese en nationale stimuleringsinstrumenten om hun ontwikkeling en oppuntstelling te vergemakkelijken. Belangrijkste steunmaatregel is dat het weesgeneesmiddel tien jaar lang een beschermde markt krijgt, een belangrijke aanvulling op de gebruikelijke octrooibeschermt. Tot vandaag heeft het Europese geneesmiddelenagentschap EMEA 30 weesgeneesmiddelen geregistreerd en hebben >400 producten in ontwikkeling het statuut van weesgeneesmiddel ontvangen.

Tal van Europese landen, waaronder Nederland, Frankrijk, Italië, Spanje en Zweden hebben al werk gemaakt van nationale stimuleringsmaatregelen voor zeldzame aandoeningen en weesgeneesmiddelen. In België worden 11 van de 30 goedgekeurde weesgeneesmiddelen terugbetaald. In België is er zeker nood aan een reflectie over hoe men de globale aanpak van zeldzame aandoeningen, met inbegrip van de beschikbaarheid van weesgeneesmiddelen, kan verbeteren.

Recent werd door diverse Belgische gezondheidspartners een informele stuurgroep 'Weesgeneesmiddelen' opgericht. Deze stuurgroep organiseerde op 7 december het symposium 'Weesgeneesmiddelen in België' en hoopt hiermee een eerste stap te zetten tot een stimulerend en coherent Belgische beleid ter zake. De ruime publieke opkomst én de aanwezigheid van HKH Prinses Astrid op de studiedag, doen verhopen dat ook in België de politieke en publieke aandacht voor zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen substantiële vorm aanneemt.

Ten einde aansluiting te vinden bij de ons omringende landen stelt de stuurgroep Weesgeneesmiddelen, die het Symposium organiseerde, zich tot doel de kennis over zeldzame ziekten, de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen en de beschikbaarheid en toegang ertoe te stimuleren.

Concreet kan dit door:

- Een formele erkenning van de stuurgroep en betoelaging van zijn werking;
- Het opstellen van een beleidsactieplan, naar voorbeeld van Frankrijk, om zorgverstrekkers en het grote publiek beter te informeren over zeldzame aandoeningen, de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen aan te moedigen en de toegang tot diagnose en behandeling te verbeteren;
- Het opstellen van een prioriteitenlijst van zeldzame ziekten waarvoor nieuwe behandelingen met hoogdringendheid moeten worden ontwikkeld;
- Patiënten en hun verenigingen betrekken bij het opbouwende denkproces en de besluitvorming omtrent zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen;
- Het instellen en ondersteunen van mechanismen op nationaal en Europees niveau om de informatie-uitwisseling inzake zeldzame ziekten te verbeteren en te stroomlijnen.

*Het voorzitterschap van de stuurgroep wordt waargenomen door prof. Jean-Jacques Cassiman, KULeuven – Centrum voor menselijke Erfelijkheid*

*Tot de leden behoren:*

*Marc Abramowicz, Centre de Génétique Humaine, ULB*

*Yolande Avontroodt, Volksvertegenwoordiger VLD,*

*Marc Bogaert, Voorzitter college van Geneesheren voor weesgeneesmiddelen RIZIV*

*Vincent Bours, Centre de Génétique Humaine, ULg*

*Lut De Baere, BOKS vzw/asbl, Belgische Organisatie voor Kinderen en volwassenen met Stofwisselingsziekten*

*Vera De Groof, François Sumkay, Intermutualistisch College Intermutualiste*

*Tim De Kegel, Leo Neels, Pharma.be vzw*

*François Eyskens, ZiekenhuisNetwerk Antwerpen (Z.N.A.)-Kon. Paolo Kinderziekenhuis en UZ-Antwerpen*

*André Lhoir, Ministerie van Volksgezondheid en Belgisch Lid van de COMP (EMA)*

*Claude Sterckx, President LUSS (Ligue des Usagers des Services de Santé)*

*Erik Tambuyzer, Senior Vice-President Genzyme Europe als vertegenwoordiging van de werkgroep weesgeneesmiddelen van Pharma.be en Bio.be*

*Thierry Velu, Hôpital Erasme - Dept Oncologie Médicale*

*Ilse Weeghmans, Vlaams Patiënten Platform*

**Informatie:**  
**Secretariaat J.-J. Cassiman;**  
**016 34 58 60 of [iris.rens@med.kuleuven.be](mailto:iris.rens@med.kuleuven.be)**