

Fonds Zeldzame Ziekten en Weesgeneesmiddelen

beheerd door de Koning Boudewijnstichting

- *Meer dan 65.000 Belgen worden geconfronteerd met één van de 7000 zeldzame ziekten*
- *Patiënten die lijden aan een zeldzame aandoening krijgen niet altijd de beste zorgen*
- *België heeft unieke troeven om zorg voor deze patiënten uit te bouwen*

Op dit ogenblik zijn er ongeveer 7.000 zeldzame ziekten, zogenaamde weesziekten, gekend. Het zijn vaak levensbedreigende of invaliderende chronische aandoeningen die, volgens de Europese regelgeving, bij minder dan 5 op 10.000 Europeanen voorkomen. Dit betekent voor België dat naar schatting meer dan 65.000 patiënten en hun families op de één of andere manier worden geconfronteerd met een zeldzame ziekte.

Voorbeelden zijn zeldzame stofwisselingsziekten en spierziekten, maar ook bijvoorbeeld zeldzame kankers en hart- en vaatziekten.

Het Fonds, dat wordt beheerd door de Koning Boudewijnstichting, bezorgt de reeds vroeger opgerichte Stuurgroep Weesziekten en Weesgeneesmiddelen, die in 2006 in het Belgisch parlement het eerste Belgisch symposium rond weesgeneesmiddelen organiseerde, een officieel onderkomen. Het brengt alle betrokken partijen in België samen en levert inspanningen voor een coherent beleid dat de levenskwaliteit van de patiënt met een weesziekte en zijn omgeving verhoogt. Het Fonds steunt uitdrukkelijk de betrokken patiëntenorganisaties die een belangrijke partner en lid zijn van het Fonds. Recent werd trouwens een Belgische koepel van patiëntenorganisaties zeldzame aandoeningen *Rare Diseases Organisation Belgium 'Radiorg.be'*, opgericht die op 29 februari jl. voor de eerste maal de 'Rare Disease Day Belgium' met een succesvolle publieke zitting in het Belgisch parlement organiseerde.

Tal van Europese landen, waaronder Nederland, Frankrijk, Italië, Spanje en Zweden hebben al een specifiek beleid betreffende weesziekten en namen ondermeer maatregelen ter stimulering van de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen. In België dient nog heel wat werk te worden gedaan.

Ontwikkeling van weesgeneesmiddelen is niet vanzelfsprekend vanwege de complexiteit en heterogeniteit van de ziekten en het beperkt aantal patiënten. De Europese Unie vaardigde in 2000 de 'verordening betreffende de erkenning van de weesgeneesmiddelen' (EG 141/2000) uit. Deze stelt dat geneesmiddelen met een 'weesstatuut' kunnen rekenen op Europese en nationale stimuleringsinstrumenten om hun ontwikkeling en op puntstelling te vergemakkelijken. Tot vandaag heeft het Europese Commissie op basis van de aanbevelingen van het geneesmiddelenagentschap EMEA 47 weesgeneesmiddelen geregistreerd en hebben meer dan 500 producten in ontwikkeling het statuut van weesgeneesmiddel ontvangen. 22 weesgeneesmiddelen worden in België terugbetaald.

Het Fonds Zeldzame Ziekten en Weesgeneesmiddelen wil zowel een coördinerende als sturende rol hebben en streeft naar een structurele en integrale aanpak voor alle activiteiten op vlak van weesziekten en weesgeneesmiddelen om te komen tot een coherent beleid dat de levenskwaliteit van de patiënt met een weesziekte en zijn omgeving verhoogt. Dit kan via de realisatie van optimale diagnostiek, naadloze zorg, onderzoek en ontwikkeling van gepaste geneesmiddelen en behandelingen en de duurzame en betaalbare toegang tot deze zorgverstrekkingen voor patiënten.



c/o KONING BOUDEWIJNSTICHTING – stichting van openbaar nut
BREDERODESTRAAT 21 B-1000 BRUSSEL
TEL +32-2-511 18 40 FAX +32-2-511 52 21
WWW.KBS-FRB.BE INFO@KBS-FRB.BE
PCR 000-000004-04 met de vermelding "R1135 Fonds Zeldzame Ziekten en Weesgeneesmiddelen"

Het Bestuurscomité van het Fonds zal concreet werk maken van:

- 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;
- Patiënten en hun verenigingen betrekken bij het opbouwende denkproces en de besluitvorming rond zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen;
- Het instellen en ondersteunen van mechanismen op nationaal en Europees niveau om de informatie-uitwisseling betreffende zeldzame ziekten te verbeteren en te stroomlijnen.

Professor J.-J. Cassiman, voorzitter van het Fonds: “België, een geografisch klein land met kwalitatief uitstekende medische dienstverlening en onderzoek, heeft alle troeven om de zorg voor patiënten met een zeldzame ziekte op een unieke manier uit te bouwen. De erkenning door de Koning Boudewijnstichting van onze vroegere Stuurgroep biedt de morele garantie dat de activiteiten van dit Fonds inderdaad leiden tot een maatschappelijk verantwoorde verbetering van de dramatische situatie waarin vele patiënten zich bevinden”.

Het voorzitterschap van het Bestuurscomité van het Fonds wordt waargenomen door prof. **Jean-Jacques Cassiman**, KULeuven – Centrum voor Menselijke Erfelijkheid

Leden:

Marc Abramowicz, Centre de Génétique Humaine, ULB

Yolande Avontroodt, Volksvertegenwoordiger, Beheerscomité RIZIV

Marc Bogaert, College van Geneesheren voor Weesgeneesmiddelen RIZIV

Vincent Bours, Centre de Génétique Humaine, ULg

Lut De Baere, Rare Diseases Organisation Belgium (RaDiOrg.be) en Belgische Organisatie voor Kinderen en volwassenen met Stofwisselingsziekte (BOKS)

Vera De Groof, Intermutualistisch Agentschap

Marc Doms, Belgische Vereniging van Ziekenhuisapothekers/Association belge des Pharmaciens Hospitaliers

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

Herwig Jansen, Wetenschappelijk Instituut voor de Volksgezondheid

André Lhoir, Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten, Belgisch Lid van de COMP (EMA)

Leo Neels/Tim De Kegel, Pharma.be vzw

Mattias Neyt, Federaal Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg

Gerrit Rauws, Koning Boudewijnstichting

Claude Sterckx/Mikky Fierens, Ligue des Usagers des Services de Santé (LUSS)

François Sumkay, Agence Intermutualiste

Erik Tambuyzer, Genzyme Europe voor de werkgroep weesgeneesmiddelen van Pharma.be en Bio.be

Thierry Velu, Hôpital Erasme - Dept Oncologie Médicale

Ilse Weeghmans/Klaartje Bruyninckx, Vlaams Patiëntenplatform (VPP)

Voor meer informatie:

Voorzitter J.-J. Cassiman : 016 34 58 60 / iris.rens@med.kuleuven.be

Secretariaat van het Fonds : 02 549 02 75 / tinne.vandensande@kbs-frb.be

www.weesziekten.be

www.RaDiOrg.be

www.kbs-frb.be