

---

# Studiën

---

## DE WEESGENEESMIDDELEN

### Inleiding

Voor elk weesgeneesmiddel dat in de lijst van vergoedbare farmaceutische specialiteiten is opgenomen, kan - indien de vergoedingsmodaliteiten daarin voorzien - een College van geneesheren worden opgericht.

De oprichting van dergelijke Colleges, op basis van de vergoedingsvoorwaarden, heeft tot doel de adviserend geneesheer te helpen bij zijn beslissing betreffende elke aanvraag die aan een vergoeding voorafgaat voor dit type van geneesmiddelen die in de behandeling van nog miskennde en vaak complexe aandoeningen worden gebruikt, maar ook om een opvolging van de kosten die deze vrij dure producten voor de Sociale Zekerheid genereren, via een nieuw orgaan, mogelijk te maken.

De eerste Colleges van geneesheren voor weesgeneesmiddelen werden in september 2004 opgericht. Op 1 oktober 2006 telde men er negen. Deze worden door eenzelfde secretariaat binnen het RIZIV ondersteund.

Dit artikel omvat drie delen en heeft tot doel de diverse werkzaamheden van de Colleges van geneesheren voor weesgeneesmiddelen toe te lichten. In het eerste deel wordt het begrip "weesgeneesmiddel" toegelicht, in het tweede deel wordt de oprichting en de werking van een College beschreven, en het laatste deel belicht het budgettaire aspect dat door de vergoeding van die geneesmiddelen wordt gegenereerd.

### I. HET WEESGENEESMIDDEL

Sommige ziektes treffen zo weinig mensen dat de kennis ervan heel beperkt is en er zo goed als geen behandelingen voor bestaan. Die aandoeningen die als zeldzaam of als weesziekten worden bestempeld, zijn - door een negatieve balans investering-rentabiliteit - een weinig rendabele markt voor de farmaceutische industrie die dan ook niet geneigd is om geneesmiddelen<sup>(1)</sup> voor die aandoeningen te ontwikkelen.

De Verenigde Staten waren de eersten die zich bewust werden van het feit dat de patiënten die leden aan een zeldzame aandoening geen even doeltreffende, veilige en kwaliteitsvolle behandelingen genoten als die welke aan andere patiënten met een "normalere" ziekte worden verstrekt. In 1983 hebben zij dan ook een reglementering opgesteld die de geneesmiddelenindustrie ertoe aanzet om voor dergelijke aandoeningen geneesmiddelen te ontwikkelen en op de markt te brengen, die dan als weesgeneesmiddel worden beschouwd. Een tiental jaar later heeft Japan dit voorbeeld gevolgd, terwijl Europa dat pas in 1999 deed<sup>(2)</sup>.

---

(1) Wet van 25 maart 1964 op de geneesmiddelen, artikel 1: "Onder geneesmiddel wordt verstaan elke enkelvoudige of samengestelde substantie, aangediend als hebbende therapeutische of profylactische eigenschappen met betrekking tot ziekten bij mens of dier. Elke enkelvoudige of samengestelde substantie die aan mens of dier toegediend kan worden teneinde een medische diagnose te stellen of om organische functies bij mens of dier te herstellen, te verbeteren of te wijzigen, wordt eveneens als geneesmiddel beschouwd".

(2) Weesgeneesmiddelen; <http://www.orphan-europe.com>.

De Europese Unie heeft eind jaren 1990, via haar administratieve instantie die bevoegd is voor geneesmiddelen, namelijk het EMEA - dit is het Europees agentschap voor de beoordeling van geneesmiddelen - een specifieke reglementering uitgewerkt voor de registratie van die weesgeneesmiddelen<sup>(3)</sup> die in april 2000<sup>(4)</sup> in werking is getreden. Die wetgeving die nog steeds de criteria inzake kwaliteit, veiligheid en doeltreffendheid bewaakt, die voor de commercialisering van een farmaceutisch product zijn vereist, spoort de farmaceutische industrie aan om weesgeneesmiddelen te ontwikkelen en op de markt te brengen via verschillende incentives<sup>(5)</sup>:

- wetenschappelijke ondersteuning van het EMEA voor de uitwerking van onderzoeksprotocollen, maar ook financiële steun van de Europese Unie voor de klinische ontwikkeling van het product;
- toegang tot de Europese of gecentraliseerde registratieprocedure;
- vrijstelling van bijdragen voor de procedures met betrekking tot aanwijzingen, protocollen en registraties;
- een exclusiviteit op de markt voor een periode van 10 jaar wanneer het product een handelsvergunning heeft gekregen.

Om dergelijke financiële en administratieve voordelen te genieten, moet het geneesmiddel dat door de firma wordt voorgesteld eerst als weesgeneesmiddel worden aangewezen. Volgens de Verordening EG nr. 141/2000 van het Europees Parlement en de Raad van 16 december 1999 inzake weesgeneesmiddelen wordt een geneesmiddel als weesgeneesmiddel aangewezen als zijn promotor of farmaceutische firma kan bewijzen dat:

- a) *het bestemd is voor de diagnostiek, de preventie of de behandeling van een ziekte die levensbedreigend is of een chronische invaliditeit meebrengt voor maximum vijf op tienduizend personen in de Gemeenschap op het ogenblik dat de aanvraag wordt ingediend, of dat het bestemd is voor de diagnostiek, de preventie of de behandeling van een levensbedreigende ziekte, een sterk invaliderende ziekte of een ernstige en chronische ziekte, waarbij het weinig waarschijnlijk is dat de commercialisering van het geneesmiddel in de Gemeenschap, zonder stimulerende maatregelen, voldoende opbrengt om de nodige investeringen te verantwoorden en*
- b) *dat er geen afdoende methode voor de diagnostiek, de preventie of de behandeling van deze aandoening bestaat die in de Gemeenschap is toegestaan, of, indien een dergelijke methode wel bestaat, dat het betreffende geneesmiddel een opmerkelijk nut heeft voor de patiënten die aan die aandoening lijden.*

De farmaceutische firma kan die aanwijzing enkel verkrijgen door een aanvraag in te dienen bij het COMP - dit is het Comité voor weesgeneesmiddelen - dat van het EMEA afhangt, waarin met name vertegenwoordigers van verenigingen van patiënten met zeldzame aandoeningen zetelen. Die procedure moet dus in een positieve beslissing resulteren opdat de farmaceutische industrie een specifieke registratieprocedure voor weesgeneesmiddelen kan opstarten bij de daartoe bevoegde administratieve instantie. Als de aanvraag bij het EMEA wordt ingediend, is dit een zogenaamde gecentraliseerde registratieprocedure waardoor de handelsvergunning in alle lidstaten

- 
- (3) "Een geneesmiddel dat hetzij overeenkomstig de voorwaarden van de Verordening EG nr. 141/2000 van het Europees Parlement en de Raad van 16 december 1999 inzake weesgeneesmiddelen, hetzij overeenkomstig de voorwaarden van artikel 25, § 7, van het K.B. van 3 juli 1969 betreffende de registratie van geneesmiddelen, als weesgeneesmiddel aangewezen is". Die definitie is sindsdien in artikel 35bis, § 9, van de gecoördineerde wet opgenomen door de wet van 27.12.2005. Te vergelijken met artikel 1, 16° van het K.B. van 3 juli 1969 betreffende de registratie van geneesmiddelen.
  - (4) Verordening EG nr. 141/2000 van het Europees Parlement en de Raad van 16 december 1999 inzake weesgeneesmiddelen; *Publicatieblad* nr. L 018 van 22.01.2000 blz. 0001-0005.
  - (5) De aanwijzing van weesgeneesmiddelen in de Europese Unie; Europees agentschap voor de beoordeling van geneesmiddelen; [www.emea.eu.int](http://www.emea.eu.int).

van de Europese Unie geldt; als de aanvraag evenwel in één bepaald land wordt ingediend, zal de zogenaamde nationale procedure worden gevolgd en moeten de reglementaire vereisten van het betreffende land worden nageleefd.

Op 25 juli 2005 heeft dat Comité voor weesgeneesmiddelen - het COMP - trouwens een verslag van zijn activiteiten met betrekking tot die weesgeneesmiddelen tussen april 2000 en april 2005 gepubliceerd overeenkomstig de bepalingen van artikel 10 van voornoemde Verordening EG 141/2000<sup>(6)</sup>. In die vijf jaar zijn ruim 450 aanvragen tot aanwijzing ingediend. Meer dan 260 producten waarvoor een aanvraag is ingediend, hebben een gunstig advies gekregen en zijn dus als weesgeneesmiddel aangewezen. Bijna negen producten op de tien betreffen geneesmiddelen die aangewezen zijn voor de behandeling van aandoeningen met een prevalentie - dit is het aantal getroffen patiënten - van minder dan drie op tienduizend. De domeinen die het vaakst worden beoogd, zijn de oncologie - voor nagenoeg een derde van de geneesmiddelen die de aanwijzing hebben verkregen - de stofwisselingsziekten, de immunologie of sommige cardiovasculaire ziektes en longaandoeningen.

Op farmaceutisch vlak betreffen bijna vier aanvragen tot aanwijzing op vijf een product dat niet afkomstig is van de biotechnologie. Voor alle types van werkzame bestanddelen - van gentherapie tot chemische complexe verbindingen - moet een aanvraag tot aanwijzing worden ingediend, maar bijna de helft daarvan betreft producten die als niet innoverend worden beschouwd. Uit statistische informatie over 2004 blijkt bovendien duidelijk dat niet de geneesmiddelen zelf zeldzaam zijn, maar de indicatie waarvoor zij zouden moeten worden gebruikt, aangezien bijna 20 % van de aanvragen in dat jaar oude chemische entiteiten betrof zoals ibuprofen, een gewone niet-steroïdale ontstekingsremmer.

Op zo'n 260 aanwijzingen hebben 22 van de 49 ingediende registratieaanvragen een vergunning gekregen voor het in de handel brengen op de Europese markt (20) of in eigen land (2).

Het COMP heeft ook een raming gemaakt van het aantal registratieaanvragen dat jaarlijks wordt verwacht voor die 260 specialiteiten die als weesgeneesmiddel worden aangewezen, wetende dat de meeste registratieaanvragen voornamelijk tussen 2006 en 2008 zullen worden ingediend (zie verwijzing <sup>6</sup>).

Die statistieken zijn interessant omdat op basis daarvan een raming kan worden gemaakt van het theoretische aantal Colleges dat in de komende jaren zou moeten worden opgericht. Vertrekkende van een veilig gemiddelde van 250 geneesmiddelen die als weesgeneesmiddel worden aangewezen, zonder rekening te houden met de geneesmiddelen die in de komende jaren als weesgeneesmiddel zullen worden aangewezen, van een registratiepercentage van 50 % (22/49 aanvragen) en van een inschrijving voor vergoeding voor 50 % van de geregistreerde weesgeneesmiddelen (dit percentage is een theoretische raming), zou het aantal Colleges in de komende jaren tot een zestigtal moeten groeien; een veertigtal van die Colleges zouden in de komende drie jaar moeten worden opgericht.

Naast het uitwerken van een specifieke reglementering die de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen aanmoedigt, heeft Europa ook het programma "Zeldzame aandoeningen" opgestart waarbij wordt getracht informatie over zeldzame aandoeningen te verzamelen, te coördineren en algemeen toegankelijk te maken, onder andere via de uitbouw van een Europees informatienetwerk<sup>(7)</sup>. Sommige lidstaten zoals Frankrijk<sup>(8)</sup> hebben het Europese beleid gevolgd door dergelijke programma's op nationaal niveau op te zetten. België doet dat ook en heeft onlangs een gelijkaardig project betreffende een actieplan voor zeldzame aandoeningen en weesgeneesmiddelen<sup>(9)</sup> aan de regering voorgelegd.

(6) COMP, Report to the Commission in relation to article 10 of regulation 141/2000 on orphan medical products; EMEA/35218/2005 Final; [www.emea.eu.int](http://www.emea.eu.int).

(7) Zeldzame aandoeningen; [www.orpha-net](http://www.orpha-net).

(8) Onderzoek naar, en ontwikkeling van weesgeneesmiddelen voor mensen met een zeldzame aandoening (26.07.2004); [www.europe.gouv.fr](http://www.europe.gouv.fr).

(9) Voorstel van resolutie betreffende een actieplan inzake zeldzame aandoeningen en weesgeneesmiddelen, ingediend door mevrouw AVONTROODT en mevrouw DIERICKX bij de Kamer van Volksvertegenwoordigers op 13 februari 2006, Kamer, Doc. 51/2282/01.

Door die Europese acties maar ook door de nationale acties is het overduidelijk dat zeldzame aandoeningen en de ontwikkeling van hun therapieën - vooral op basis van geneesmiddelen - een uiterst gevoelig onderwerp zijn op politiek, maar vooral op menselijk vlak. Die aandoeningen - waarvan er vandaag ongeveer 7000 bestaan - treffen immers meer dan 25 miljoen Europeanen en leiden tot een aanzienlijke afname van de levensduur, maar ook tot motorische en/of mentale handicaps die de gezondheid sterk ondermijnen, in de meeste gevallen zelfs vanaf de eerste levensjaren (zie verwijzingen<sup>7-9</sup>).

In onderstaande tabel worden alle tot nu toe geregistreerde weesgeneesmiddelen vermeld, alsook het actieve bestanddeel, de beoogde aandoening en het geraamde aantal patiënten in Europa. De geregistreerde indicaties zijn niet in de tabel opgenomen maar kunnen op de website van het EMEA worden geraadpleegd. De geneesmiddelen die vetgedrukt staan, zijn de geneesmiddelen die in België goedgekeurd zijn.

**Tabel 1: Geregistreerde weesgeneesmiddelen in Europa op 1 mei 2005 (zie verwijzing<sup>6</sup>)**

<b>Specialiteiten</b>	<b>Actief bestanddeel</b>	<b>Aandoening</b>	<b>Geraamde aantal patiënten in Europa*</b>
<b>ALDURAZYME</b>	Laronidase	Mucopolysaccharidose type I	1 100
<b>BUSILVEX</b>	Busulfan	Voorbehandeling bij de trans-plantatie van hematopoëtische cellen	32 100
<b>CARBAGLU</b>	N-carbamyl-L-glutaminezuur	N-acetylglutamaat synthetasedeficiëntie	46
<b>DUODOPA</b>	Levodopa/Carbidopa	Parkinson met grote fluctuaties en waarbij een orale behandeling geen resultaten meer oplevert	110 328
<b>FABRAZYME</b>	Galactosidase	Ziekte van Fabry	1 200
<b>GLIVEC</b>	Imatinib-mesylaat	- Chronische myeloïde leukemie - Kwaadaardige gastro-intestinale tumoren	41 300 27 500
<b>IMPAVIDO</b>	Miltefosine	Viscerale Leishmaniasis	4 600
<b>LITAK</b>	Cladribine	Indolent non-Hodgkin lymfoom	167 800
<b>LYSODREN</b>	Mitotane	Adrenocorticaal adenoom	4 600
<b>ONSENAL</b>	Celecoxib	Familiale adenomateuze polyposis	46 000
<b>ORFADIN</b>	Nitisinone	Tyrosinemie type I	4 600
<b>PEDEA</b>	Ibuprofen	Patent ductus arteriosus	97 900
<b>PHOTOBARR</b>	Porfimeer-natrium	Hoge graad dysplasie bij Barrett oesofagitis	165 500
<b>PRIALT</b>	Ziconotide	Chronische pijn waarbij een intraspinaal analgesie is vereist	71 200
<b>REPLAGAL</b>	Galactosidase	Ziekte van Fabry	1 200
<b>SOMAVERT</b>	Pegsivomant	Acromegalie	27 500
<b>TRACLEER</b>	Bosentan	Pulmonaire arteriële hypertensie en chronische pulmonaire thrombo-embolische hypertensie	101 100
<b>TRISENOX</b>	Arsentrioxide	Acute promyelocytair leukemie	91 900
<b>VENTAVIS</b>	Iloprost	Pulmonaire arteriële hypertensie	101 100
<b>WILZIN</b>	Zinkacetaat	Ziekte van Wilson	27 500
<b>XAGRID</b>	Anagrelide	Essentiële trombocytose	138 000
<b>ZAVESCA</b>	Miglustaat	Ziekte van Gaucher	27 500

\* gebaseerd op een Europese bevolking van 459 700 000 inwoners.

## II. COLLEGES VAN GENEESHEREN VOOR WEESGENEESMIDDELEN

Opdat een geneesmiddel - ongeacht of het om een weesgeneesmiddel gaat of niet - in de lijst van vergoedbare farmaceutische producten kan worden opgenomen, moet de firma die over een vergunning voor het in de handel brengen beschikt en die geldig is in België, daartoe eerst een schriftelijke aanvraag indienen (met bericht van ontvangst) bij het secretariaat van de Commissie tegemoetkoming geneesmiddelen (CTG)<sup>(10)</sup>, en moet de Minister van Sociale Zaken in een tweede fase beslissen om dit product te vergoeden, op basis van het voorstel van de CTG, van het advies van de inspecteur van Financiën en van het akkoord van de minister van de FOD Begroting.

De specifieke procedure voor de inschrijving voor vergoeding van een weesgeneesmiddel verloopt volgens de modaliteiten beschreven in hoofdstuk II, onderafdeling 5, van het koninklijk besluit van 21 december 2001<sup>(11)</sup>. Die procedure duurt maximum 180 dagen en verloopt meestal als volgt: nadat het aanvraagdossier door de farmaceutische firma is ingediend en nadat deze ontvankelijk is verklaard overeenkomstig voornoemd artikel 37 van het koninklijk besluit van 21 december 2001, wordt een eerste wetenschappelijk evaluatieverslag opgemaakt en binnen 30 dagen aan het Bureau van de Commissie voorgelegd. Het Bureau van de Commissie bestaat uit enkele leden van de CTG, waaronder de voorzitter, en is belast met de voorbereiding van de taken van de CTG. Het verslag dat enkel door het Bureau wordt goedgekeurd, wordt - rekening houdende met de eventuele opmerkingen - naar de FOD Economie gestuurd die de maximumprijs moet vaststellen die de firma voor dit vergoedbare product kan toepassen. Deze FOD beschikt over 90 dagen om een uitspraak te doen en baseert zich op het aanvraagdossier dat op hetzelfde moment moet zijn ingediend dan het dossier dat aan het secretariaat van de CTG is voorgelegd. De firma moet de toegestane prijs binnen voornoemde termijn aan het secretariaat van de CTG meedelen; zoniet wordt de procedure geschorst totdat de toegestane prijs is meegedeeld. Het wetenschappelijke evaluatieverslag moet door de CTG binnen 60 dagen worden goedgekeurd. Zodra de firma dit verslag ontvangt, beschikt zij over 20 dagen om opmerkingen te formuleren en om eventuele vragen van de CTG te beantwoorden. De firma heeft tevens het recht om de procedure op dat ogenblik te schorsen, teneinde over meer tijd te beschikken om te reageren. Dit wetenschappelijke verslag heeft betrekking op de gegevens van de geregistreerde en vergoedbare indicatie, zoals de epidemiologische gegevens of de bestaande therapeutische alternatieven, en bevat een eerste evaluatie van de budgettaire impact die door een eventuele vergoeding van het geneesmiddel wordt teweeggebracht.

Op dag 120 moet de CTG een voorlopig voorstel met betrekking tot de inschrijving van het product voor vergoedbaarheid formuleren en aan de firma meedelen. Dit voorlopige voorstel is het eerste advies van de CTG over de vergoeding. Indien dit voorstel positief is, moeten de vergoedingsvoorwaarden er nauwkeurig in worden beschreven. Die voorwaarden betreffen de plaats van aflevering (openbare officina en/of ziekenhuisofficina); de vergoedingsbasis, die het bedrag is waarop de tegemoetkoming van de sociale zekerheid wordt berekend; de vergoedingscategorie en -groep die het deel bepalen van de vergoedingsbasis ten laste van de sociale zekerheid; en de modaliteiten of hoofdstuk waarin het geneesmiddel zal worden ingeschreven. Hoofdstuk I betreft de specialiteiten waarvan de vergoeding aan geen enkele controle is onderworpen, maar waarbij de specialiteit impliciet moet worden voorgeschreven voor zijn geregistreerde indicaties, hoofdstuk II omvat de specialiteiten die aan een zogenaamde *a posteriori* controle zijn onderworpen, dat wil zeggen dat de adviserend geneesheer de geneesheer die de vergoeding aanvraagt achteraf kan controleren, nadat deze de vergoeding aan de patiënt heeft toegekend en hoofdstuk IV omvat de specialiteiten die aan een zogenaamde *a priori* controle zijn onderworpen, dat wil zeggen dat de adviserend geneesheer de vergoeding al dan niet toekent aan zijn verzekerde op basis van het aanvraagdossier van de geneesheer.

(10) Bedoeld in artikel 29bis van de gecoördineerde wet, hierna genoemd CTG; voor de procedures, zie artikel 35bis, § 9, van de wet en artikel 37 van het K.B. van 21 december 2001 tot vaststelling van de procedures, termijnen en voorwaarden inzake de tegemoetkoming van de verplichte verzekering voor geneeskundige verzorging en uitkeringen in de kosten van farmaceutische specialiteiten.

(11) K.B. van 21 december 2001 tot vaststelling van de procedures, termijnen en voorwaarden inzake de tegemoetkoming van de verplichte verzekering voor geneeskundige verzorging en uitkeringen in de kosten van farmaceutische specialiteiten; B.S. van 29 december 2001, blz. 45 585.

De firma beschikt over 10 dagen om op het voorlopige voorstel te reageren en om een eventueel tegenvoorstel te doen in verband met de vergoeding. Zoals in de vorige fase heeft de firma ook hier het recht om de procedure te schorsen, teneinde de termijn waarbinnen zij moet reageren te verlengen.

Op dag 150 moet de CTG een definitieve uitspraak hebben gedaan over een bepaald voorstel waarvan de minister mag afwijken om sociale en/of om budgettaire redenen. Indien het definitieve voorstel positief is, moet het naast de vergoedingsmodaliteiten ook de herzieningscriteria omvatten die door de firma moeten worden meegedeeld binnen de door de CTG vastgestelde termijn. Die gegevens liggen aan de basis van een nieuwe procedure, de zogenaamde procedure voor de individuele herziening die in hoofdstuk III, afdeling 1, van het koninklijk besluit van 21 december 2001 wordt beschreven. Als de CTG geen enkel voorstel doet, beslist de Minister van Sociale Zaken over de aanvraag van de firma. Het definitieve voorstel wordt naar de firma en naar de minister verzonden opdat deze de finale beslissing neemt. De wil van de CTG en/of de Minister om het geneesmiddel te vergoeden, zal steeds voor advies aan de inspecteur van Financiën en voor goedkeuring van de Minister van Begroting worden voorgelegd.

Vóór dag 180 betekent de Minister van Sociale Zaken zijn gemotiveerde beslissing aan de aanvrager en vermeldt daarin de meerwaardeklasse indien de beslissing een inschrijving voor vergoeding betreft, - voor weesgeneesmiddelen wordt in de meerwaardeklasse enkel vermeld dat het om een weesgeneesmiddel gaat - de vergoedingsvoorwaarden, de vergoedingsbasis, de vergoedingscategorie en de vergoedingsgroep, alsook de termijn en de elementen die voor de individuele herziening moeten worden geëvalueerd.

Wat de weesgeneesmiddelen betreft - dit zijn gewoonlijk dure farmaceutische specialiteiten die voor nog erg miskende ziektes worden gebruikt - is in 2004 beslist om voor dit type van geneesmiddelen Colleges van geneesheren op te richten die de adviserend geneesheer moeten bijstaan in zijn beslissing om al dan niet een vergoeding voor een dergelijk product toe te staan ten gunste van zijn verzekerde. Het koninklijk besluit betreffende de vergoeding van weesgeneesmiddelen dateert van 8 juli 2004<sup>(12)</sup>. In dit besluit worden de samenstelling, de taken en de werking van de Colleges van geneesheren voor weesgeneesmiddelen beschreven. Het secretariaat van die Colleges wordt waargenomen door mensen van het RIZIV die aan de beheerseenheid van de farmaceutische specialiteiten van de Dienst voor geneeskundige verzorging zijn verbonden.

Een College wordt echter enkel opgericht als dit in de vergoedingsmodaliteiten van het weesgeneesmiddel is bepaald, met andere woorden wanneer de CTG meent dat de vergoeding van het betreffende weesgeneesmiddel een vergoeding vereist die aan de voorafgaande goedkeuring van de adviserend geneesheer is onderworpen en wanneer zij vindt dat die adviserend geneesheer met betrekking tot elke vergoedingsaanvraag het advies van een College van geneesheren mag inwinnen.

Overeenkomstig artikel 4 van het koninklijk besluit van 8 juli 2004 moet het College zijn samengesteld uit een door de Koning aangewezen voorzitter, uit vier geneesheren die expert zijn in de betreffende aandoening en uit vier vertegenwoordigers van de verzekeringsinstellingen. De namen van de vier geneesheren-experts worden door de CTG aan de Minister voorgesteld; de namen van de vertegenwoordigers van de ziekenfondsen worden door het Nationaal intermutualistisch college voorgesteld. Op basis van deze voorstellen benoemt de Minister van Sociale Zaken de leden van het College; de inwerkingtreding van het ministerieel besluit betreffende die benoemingen valt gewoonlijk samen met die van het koninklijk besluit betreffende de vergoedingsmodaliteiten van het nieuwe weesgeneesmiddel. Aangezien de oprichting van een College afhangt van de vergoedingsvoorwaarden van het betreffende weesgeneesmiddel, is dat College eigen aan dat

---

(12) K.B. van 8 juli 2004 betreffende de vergoeding van weesgeneesmiddelen.

weesgeneesmiddel en bestaat er dus één College per vergoedbaar weesgeneesmiddel, maar voor weesgeneesmiddelen die weliswaar eenzelfde pathologie beogen, zoals dat met name het geval is voor REPLAGAL en FABRAZYME die allebei worden gebruikt in de behandeling van de ziekte van Fabry of die eenzelfde domein beogen zoals XAGRID en TRISENOX die verschillende indicaties hebben, maar die allebei specialiteiten zijn die bij de behandeling van bloedziekten worden gebruikt, kan de samenstelling van verschillende Colleges identiek zijn. Het principe volgens hetwelk dezelfde mensen, in het bijzonder geneesheren-experts, of een deel van hen, in verschillende Colleges zitting hebben, maakt het mogelijk om eenzelfde werking in de verschillende Colleges te hebben.

Wat de specialiteiten SOMAVERT en GLIVEC betreft die respectievelijk voor de behandeling van acromegalie en van bepaalde vormen van kanker worden gebruikt, wordt in hun vergoedingsmodaliteiten - die voor de zomer van 2004 zijn gepubliceerd - geen enkele College vermeld.

In september 2004 zijn vier Colleges ingesteld. Het betreft de Colleges van geneesheren voor de weesgeneesmiddelen ALDURAZYME, FABRAZYME, REPLAGAL en TRACLEER. Het College voor ZAVESCA is in september 2005 ingesteld; de Colleges voor XAGRID en TRISENOX, die uit dezelfde leden zijn samengesteld, zijn in november 2005 ingesteld. Het College van geneesheren voor ORFADIN is in juli 2006 opgericht en het College voor CARBAGLU in september 2006.

In onderstaande tabel vindt u alle in oktober 2006 bestaande Colleges, de indicatie waarvoor het geneesmiddel wordt vergoed, alsook het algemene domein van de betreffende ziekte.

**Tabel 2: Lijst van de vergoedbare farmaceutische specialiteiten waarvoor een College van geneesheren is ingesteld**

Specialiteiten	Indicatie	Domein
ALDURAZYME (09/2004)	Mucopolysaccharidose Type I	Stofwisselingsziektes
CARBAGLU (09/2006)	Hyperammonieëmie als gevolg van N-acetylglutamaat synthetasedeficiëntie	
FABRAZYME (09/2004)	Ziekte van Fabry	
REPLAGAL (09/2004)		
ORFADIN (07/2006)	Erfelijke tyrosinemie type I	
ZAVESCA (09/2005)	Ziekte van Gaucher type I	
TRACLEER (09/2004)	Pulmonaire arteriële hypertensie	Cardiologie – Pulmonologie
XAGRID (11/2005)	Essentiële trombocytose	Hematologie
TRISENOX (11/2005)	Acute promyelocyttaire leukemie	

## Taken van het College

De taken van het College zijn:

- het geven van adviezen aan de adviserend geneesheren betreffende de vergoedingsaanvragen die door de geneesheren voor hun patiënt worden ingediend;
- het beantwoorden van gerichte vragen van de CTG of het Bijzonder Solidariteitsfonds (BSF);
- het opmaken van een jaarlijks activiteitenverslag;
- het voorstellen van eventuele wijzigingen aan de geldende vergoedingsmodaliteiten;
- het voorstellen van gegevens die moeten worden verzameld.

De eerste drie taken staan in artikel 3 van het koninklijk besluit van 8 juli 2004 beschreven en de laatste twee in één van de paragrafen van de vergoedingsmodaliteiten van weesgeneesmiddelen tot instelling van een College.

### **1. Het geven van adviezen aan de adviserend geneesheren betreffende de vergoedingsaanvragen die door de geneesheren voor hun patiënt worden ingediend**

De vergoeding van weesgeneesmiddelen waarvoor een College is opgericht, is aan de voorafgaande goedkeuring van de adviserend geneesheer onderworpen. Het College heeft onder meer de opdracht de adviserend geneesheer bij te staan in zijn beslissing over de toekenning van een vergoeding aan een patiënt, naar aanleiding van een aanvraag van de geneesheer-specialist voor het betreffende weesgeneesmiddel; het College geeft echter alleen maar een advies want de beslissingsbevoegdheid blijft bij de adviserend geneesheer.

De aanvragen die bij de verschillende verzekeringsinstellingen door geneesheren worden ingediend, worden geanonimiseerd en vervolgens naar het secretariaat van de Colleges gestuurd. Het secretariaat registreert de aanvraag en verzoekt de geneesheer-expert de ontvankelijkheid van het dossier goed te keuren door de aanwezigheid van de verschillende documenten die dit dossier moet bevatten, te bevestigen. Die elementen worden enerzijds in de vergoedingsmodaliteiten van het geneesmiddel bepaald en anderzijds in artikel 7 van het koninklijk besluit van 8 juli 2004. De eventueel ontbrekende elementen worden aan de betrokken verzekeringsinstelling gevraagd. Zodra het dossier als volledig wordt beschouwd, kan het voor advies aan de leden van het College worden voorgelegd.

Er zijn twee stemprocedures: het geven van een advies gebeurt ofwel in voltallige vergadering, ofwel elektronisch. Overeenkomstig artikel 5 van het koninklijk besluit van 8 juli 2004 verleent het College zijn advies over de vergoedingsaanvragen mondeling of, in geval van dringende noodzakelijkheid, schriftelijk. Het is op basis van die laatste zin dat het secretariaat het elektronische stemmen heeft ingevoerd. Gelet op het feit dat de verzekeringsinstellingen op elk moment het advies van de verschillende Colleges kunnen vragen betreffende de vergoedingsaanvragen die bij hen worden ingediend en gelet op de moeilijkheid om alle leden van een College snel bijeen te roepen, is het stemmen via e-mail ingevoerd om zo snel mogelijk een advies te kunnen geven over een vergoedingsaanvraag. Indien het College geen unaniem advies of geen advies met gewone meerderheid<sup>(13)</sup> van stemmen kan geven via elektronische weg of indien een lid een dossier of verschillende dossiers wil bespreken, wordt zo vlug mogelijk een voltallige vergadering belegd. Elk lid kan een positief of negatief advies uitbrengen of vragen dat het dossier ter bespreking wordt voorgelegd behalve wanneer het lid de aanvragende geneesheer zelf is; in dat geval mag hij niet stemmen. Alle commentaar wordt, in geval van een positief advies, als aanbeveling aan de adviserend geneesheer geformuleerd - bijvoorbeeld het vragen van bepaalde elementen aan de geneesheer die de aanvraag indient - en in geval van een negatief advies, als argumenten die dit advies steunen. In bepaalde gevallen kan het dossier worden uitgesteld als de leden menen dat zij niet over alle nodige elementen beschikken om een definitief advies te geven.

---

(13) Krachtens artikel 5 van het K.B. van 8 juli 2004 neemt de voorzitter, bij staking van stemmen, deel aan de stemming en is zijn stem beslissend.

In dat geval wordt het verzoek om de elementen te leveren die noodzakelijk worden geacht voor het geven van een advies naar de betrokken verzekeringsinstelling gestuurd die ermee belast wordt die documenten aan de aanvragende geneesheer te vragen en deze dan aan het secretariaat van het college te bezorgen. Zodra het College de gevraagde bijkomende informatie ontvangt, wordt die informatie aan de leden meegedeeld en wordt het dossier voor een tweede maal ter stemming gebracht.

## **2. Het opmaken van een jaarlijks activiteitenverslag**

Voor elk College moet een jaarlijks activiteitenverslag worden opgemaakt. Een dergelijk document wordt opgemaakt op basis van de informatie uit de verschillende vergoedingsaanvragen die in het betreffende jaar voor advies aan het College zijn voorgelegd. Dit verslag is tevens vertrouwelijk.

Dankzij de gegevensbank - die gecreëerd is om al die aanvragen te kunnen opvolgen - kunnen een aantal statistieken worden gemaakt over de administratieve en medische gegevens die beschikbaar zijn in het aanvraagformulier en in het dossier dat bij de vergoedingsaanvraag is gevoegd.

De eerste gegevens betreffen het aantal ingediende dossiers, het aantal betrokken patiënten en de adviezen die zijn gegeven. De tweede reeks statistieken betreft meer administratieve gegevens. De belangrijkste gegevens - met name om een eventuele wijziging van de vergoeding te steunen - hebben betrekking op de informatie uit het aanvraagformulier en het medisch dossier. Een eerste ontwerp wordt aan de leden van het betrokken College voorgelegd die aldus in staat zijn om bijkomende statistieken voor te stellen of te vragen.

Het budgettaire aspect komt in dit verslag eveneens aan bod, maar aangezien de adviseerend geneesheer er enerzijds wettelijk<sup>(14)</sup> niet toe gehouden is het advies van het College in te winnen om een beslissing te nemen over een vergoedingsaanvraag voor een weesgeneesmiddel en anderzijds de beslissing, die hij moet nemen, verschillend kan zijn van het advies van het College, kan het aantal patiënten die voor dat College zijn geïnventariseerd, verschillen van het werkelijke aantal patiënten dat een vergoeding genoot. Bijgevolg kunnen de verzekeringsinstellingen of de Farmanet-dienst die over de uitgaven van het RIZIV informeert, eventueel worden verzocht het budgettaire plaatje dat door de vergoeding van het betreffende weesgeneesmiddel wordt gegenereerd, te vervolledigen. Dit probleem waarmee men in de eerste bestaansjaren van de Colleges wordt geconfronteerd, staat op het punt opgelost te worden, enerzijds door de verplichting die de adviserend geneesheer heeft om elke beslissing betreffende de vergoeding van een vergoedbaar weesgeneesmiddel te melden, ongeacht of het advies van het college al dan niet is gevraagd<sup>(15)</sup> en anderzijds door de consensus volgens welke de verzekeringsinstellingen hebben beslist dat elke vergoedingsaanvraag voor dit type van geneesmiddel verplicht via het College moest passeren.

## **3. Het voorstellen van eventuele wijzigingen aan de geldende vergoedingsmodaliteiten**

Het College mag, op basis van de dossiers die hem voor advies worden voorgelegd, wijzigingen aan de geldende vergoedingsmodaliteiten voorstellen. Het mag uiteraard een beperking of een uitbreiding van de bestaande voorwaarden voorstellen. Een eventuele wijziging van de vergoedingsmodaliteiten mag worden voorgesteld bij de opmaak van het jaarverslag dat de verschillende gegevens bevat die nodig zijn om dit voorstel te steunen. Als het verslag, dat een wijziging

(14) Artikel 8, § 2, van het K.B. van 8 juli 2004 betreffende de vergoeding van weesgeneesmiddelen.

(15) Artikel 9 van het K.B. van 8 juli 2004 betreffende de vergoeding van weesgeneesmiddelen.

van de modaliteiten bevat, door de CTG wordt goedgekeurd, wordt een procedure tot wijziging van de modaliteiten op initiatief van de CTG opgestart overeenkomstig artikel 38 van het voormelde koninklijk besluit van 21 december 2001. De termijn en de fasen van die procedure zijn gelijkaardig aan die van de hiervoor beschreven inschrijvingsprocedure voor de vergoeding voor een weesgeneesmiddel. Voorstellen tot wijzigingen kunnen eveneens worden geformuleerd tijdens de eventuele individuele herziening van de specialiteit. Die procedure wordt opgestart zodra men beschikt over de gegevens, verstrekt op basis van de herzieningscriteria die door de CTG zijn vastgesteld op het moment dat zij haar positief advies gaf over de aanvraag tot inschrijving voor vergoeding van het product.

#### 4. Het voorstellen van gegevens die moeten worden verzameld

Die taak staat niet in het koninklijk besluit van 8 juli 2004 beschreven, maar in één van de leden/onderparagrafen van de verschillende vergoedingsmodaliteiten van de vergoedbare weesgeneesmiddelen (na juli 2004):

...

*xx) Om de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen in staat te stellen de opdrachten bepaald in artikel 29bis en 35bis van de Wet uit te voeren, met name wat betreft een latere wijziging van de inschrijving van de farmaceutische specialiteit, wordt de terugbetaling van de specialiteiten vermeld in punt yy) slechts toegekend voor zover gecodeerde gegevens betreffende de evolutie en de toestand van de rechthebbenden die deze terugbetaling krijgen, kunnen worden geregistreerd en geëvalueerd. De modaliteiten met betrekking tot de aard van de gegevens, de registratie, het verzamelen en de evaluatie ervan worden door de Minister vastgelegd op voorstel van de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen.*

...

Het zijn de Colleges die de te verzamelen gegevens aan de CTG zullen voorstellen op basis van de ervaring die zij tijdens de afgelopen jaren van hun bestaan hebben opgedaan.

#### 5. Het beantwoorden van gerichte vragen van de CTG of van het Bijzonder Solidariteitsfonds

De Colleges, gedeeltelijk samengesteld uit geneesheren-deskundigen, kunnen ofwel door de CTG ofwel door het BSF<sup>(16)</sup> worden verzocht een antwoord te geven op bepaalde specifieke vragen betreffende zeldzame ziektes. Er wordt vooral een beroep gedaan op de Colleges voor producten waarvoor een vergoedingsprocedure bij de CTG lopende is of die nog door het BSF worden vergoed. Het BSF is trouwens vaak de enige mogelijkheid om de weesgeneesmiddelen die (nog) niet worden vergoed, te vergoeden aangezien het College van geneesheren-directeurs tegemoetkomingen kan verlenen in de kosten van uitzonderlijke geneeskundige verstrekkingen die niet worden vergoed maar waarvan de voorwaarden die moeten zijn vervuld om die tegemoetkoming te genieten in artikel 25 van de gecoördineerde wet van 14 juli 1994 betreffende de verplichte verzekering voor geneeskundige verstrekkingen en uitkeringen tot vaststelling van de tegemoetkomingsvoorwaarden van het BSF, zijn opgenomen.

(16) Artikel 25 en volgende van de wet betreffende de verplichte verzekering voor geneeskundige verzorging en uitkeringen, gecoördineerd op 14 juli 1994; opgemerkt moet worden dat artikel 25ter, §1, in fine preciseert dat "In het kader van het Bijzonder Solidariteitsfonds niet kan worden afgeweken van de beslissingen van het College van geneesheren voor weesgeneesmiddelen, bedoeld in artikel 2 van het K.B. van 8 juli 2004 betreffende de vergoeding van weesgeneesmiddelen".

De hoofdtaak van de Colleges is het geven van adviezen over de vergoedingsaanvragen voor patiënten. Gelet echter op de samenstelling van de Colleges zijn zij ook een grote bron van informatie voor dit nog miskende en/of complexe wetenschappelijke domein van de zeldzame ziektes en de weesgeneesmiddelen en er kan dus een beroep op hen worden gedaan om een antwoord te geven op bepaalde vragen van de CTG of het BSF. Dankzij de opmaak van de verschillende jaarverslagen kan men een soort gedocumenteerd historisch overzicht krijgen van de medische en budgettaire gevolgen van de toediening van dergelijke producten.

### III. HET BUDGETTAIRE ASPECT VAN WEESGENEESMIDDELEN

Weesgeneesmiddelen zijn duur en hun inschrijving voor vergoeding genereert bijgevolg aanzienlijke budgetten voor de sociale zekerheid.

De hoge kosten van die farmaceutische specialiteiten zijn begrijpelijk gelet op de lage rendabiliteit van de betreffende markt voor de geneesmiddelenindustrie. Men moet er evenwel aan herinneren dat Europa die firma's talrijke financiële voordelen biedt zowel op het vlak van de administratieve procedures als op dat van de klinische ontwikkeling. Nochtans bestaat er een grote heterogeniteit in de prijzen die in de verschillende lidstaten worden toegepast. Die verschillen - de prijs voor eenzelfde product kan in een bepaalde lidstaat tweemaal zo hoog liggen als in een andere lidstaat - zijn vooral te wijten aan het feit dat de prijzen worden vastgesteld op basis van de nationale reglementeringen en niet op basis van de Europese wetgeving inzake prijzen voor geneesmiddelen. Die verschillen doen de vraag rijzen naar de transparantie van de prijzen die door de farmaceutische firma's worden gehanteerd en benadrukken de verscheidenheid aan vergoedingssystemen in de verschillende lidstaten.

De analyse van het budget dat door de vergoeding van een weesgeneesmiddel wordt gegenereerd, wordt tijdens de hierboven beschreven procedure van de CTG gevoerd. In die analyse wordt rekening gehouden met verschillende elementen die verband houden met het geneesmiddel en de indicatie waarvoor het geregistreerd is. De budgettaire impact zal worden berekend met name op basis van:

- de epidemiologische gegevens (op basis waarvan het aantal Belgische patiënten die het geneesmiddel mogelijkwijze toegediend krijgen, kan worden geraamd);
- de dosering (aantal toedieningen van het geneesmiddel en frequentie van die toedieningen);
- de bestaande therapeutische alternatieven (met name hun beschikbaarheid, compliance, kosten);
- de vergoedingsbasis van het product;
- de vergoedingscategorie (alle geneesmiddelen die reeds vergoedbaar zijn als weesgeneesmiddelen vallen onder categorie A, dat wil zeggen dat hun prijs volledig door het RIZIV wordt gedragen zolang er geen generieken bestaan).

Om de werkelijke budgettaire weerslag van de inschrijving voor vergoeding van het betreffende weesgeneesmiddel te kennen, zowel voor de sociale zekerheid als voor de patiënt, is een vergelijking gemaakt met de bestaande al dan niet vergoedbare alternatieven. De magistrale bereidingen kunnen soms als vergelijkingsbasis dienen bij de opmaak van de budgettaire weerslag. Dankzij vergelijkingen met alternatieve therapeutische instrumenten kan het positieve of negatieve effect voor zowel de sociale zekerheid als voor de patiënt van de inschrijving voor vergoeding worden vastgesteld. Zo kan de inschrijving voor vergoeding van bepaalde producten een voordeel betekenen voor de sociale zekerheid doordat het een besparing oplevert ten opzichte van de uitgaven die door de bestaande alternatieven worden gegeneerd. Andersom kan de inschrijving voor vergoeding van andere geneesmiddelen bijkomende uitgaven met zich meebrengen die onaanvaardbaar zijn indien geen enkel voordeel op het vlak van de therapeutische waarde<sup>(17)</sup> wordt toegevoegd of is bewezen.

In onderstaande tabel vindt u een raming van de budgettaire weerslag voor alle geneesmiddelen die als weesgeneesmiddelen zijn aangewezen en die voor vergoeding<sup>(18)</sup> zijn ingeschreven. Die ramingen zijn eigen aan de specialiteit zelf. Het type van verpakking, de kenmerken van de vergoedingsmodaliteiten, alsook de vergoedingsbasis van de verpakkingen worden eveneens beschreven via de prijs buiten bedrijf. Het aantal geraamde patiënten in België wordt eveneens vermeld, alsook het aantal geïnventariseerde patiënten (of het aantal patiënten waarvoor in september 2006 één of meerdere adviesaanvragen zijn ingediend bij de verschillende colleges sinds hun oprichting). De farmaceutische specialiteiten GLIVEC en SOMAVERT worden als laatste in de tabel opgenomen aangezien zij geen College van geneesheren voor weesgeneesmiddelen hebben, maar wel als weesgeneesmiddelen zijn aangewezen.

---

(17) Overeenkomstig artikel 1, 21°, van het K.B. van 21 december 2001 wordt de therapeutische waarde van een specialiteit gedefinieerd als zijnde: "de som van de waardering van alle voor de behandeling relevante eigenschappen van een specialiteit, waarbij de werkzaamheid, de doeltreffendheid, de bijwerkingen, de toepasbaarheid en de gebruiksvriendelijkheid in aanmerking worden genomen, en die tezamen bepalend is voor de plaats van de specialiteit binnen de therapie in vergelijking met andere beschikbare behandelingsmogelijkheden; deze therapeutische waarde situeert zich op de niveaus van morbiditeit, mortaliteit of levenskwaliteit. Een specialiteit beschikt over een therapeutische meerwaarde indien de behandeling met de betreffende specialiteit tot een hogere therapeutische waarde leidt dan een aanvaarde standaardbehandeling".

(18) Gegevens beschikbaar op de website van het RIZIV: [www.riziv.fgov.be](http://www.riziv.fgov.be): rubriek geneesmiddelen - opzoeking onder de naam van de specialiteit; zoeken op de specificaties van het geneesmiddel, vervolgens op het ministerieel besluit.

Tabel 3: Overzicht van de geraamde budgetten voor elk vergoedbaar weesgeneesmiddel

Specialiteit (Firma)	Verpakking	Vergoedingsvoorwaarden (Hoofdstuk en §)	Afgeronde vergoedingsbasis (Prijs buiten bedrijf - Euro) / verpakking (vermeld in het ministerieel besluit)	Raming van het aantal behandelbare patiënten die in België een vergoeding kunnen genieten	Aantal geïnventariseerde patiënten bij de Colleges sinds hun oprichting (1.10.2006)	Kosten/Patiënt/Jaar (Raming - Euro)	Jaarbudget RIZIV (Raming - Euro)
<b>ALDURAZYME</b> (Genzyme)	Insp fl. 5ml – 100 U/ml	Hoofdstuk IV, § 3120000	650	12	6	+/- 300 000	+/- 3 500 000
<b>FABRAZYME</b> (Genzyme)	Fl. 35 mg	Hoofdstuk IV, § 2970000	3800	50 -75 (50%)	6	+/- 200 000	Max. +/- 7 500 000
<b>REPLAGAL</b> (TKT SS)	Fl. 1ml - 1mg/ml Fl. 3,5 ml	Hoofdstuk IV, § 2980000	500 2000		30	+/- 200 000	
<b>TRACLEER</b> (Actelion)	56 tab. x 62,5 mg 56 tab. x 125 mg	Hoofdstuk IV, § 2990000	2900	120 (60 nieuwe gevallen/jaar)	184	+/- 39 000	+/- 4 700 000
<b>ZAVESCA</b> (Actelion)	84 caps. x100	Hoofdstuk IV, § 3430000	6800	3	1	+/- 94 000	+/- 300 000
<b>XAGRID</b> (Shire)	100 caps. x 0,5 mg	Hoofdstuk IV, § 3450000	530	180 – 200	131	+/- 7 500	+/- 1 500 000
<b>TRISENOX</b> (Cell Therap. UK)	10 amp. x 1 mg/ml	Hoofdstuk IV, § 3480000	3900	6 – 16	0	+/- 25 000	+/- 275 000
<b>ORFADIN</b> (Orphan Europe Benelux)	60 caps. x 2 mg 60 caps. x 5 mg 60 caps. x 10 mg	Hoofdstuk IV, § 3660000	820 1640 3000	11	3	Max +/- 100 000	Max. +/- 1 200 000
<b>CARBAGLU</b> (Orphan Europe)	5 tabl. x 200 mg 60 tabl. x 200 mg	Hoofdstuk IV, § 38000100 38000200	350 4210	15 à 20 diagnostische tests per jaar	0	+/- 300	Max +/- 6 200
				1 behandeling om de 5 jaar	0	+/- 14 000 à 1 100 000	+/- 14 000 à 1 100 000
<b>SOMAVERT</b> (Pfizer)	30 vials x 10 mg 30 vials x 20 mg 30 vials x 30 mg	Hoofdstuk IV, § 3030000	2250 3375 4500	30 (15 nieuwe gevallen/jaar)	-	+/- 40 000	+/- 1 155 000
<b>GLIVEC</b> (Pfizer)	100 x 120 mg 30 x 400 mg	Hoofdstuk IV, § 2370000	2470	Chronische myeloïde leukemie	-	+/- 48 000	+/- 7 300 000 (jaar 3)
		Hoofdstuk IV, § 2590000		Kwaadaardige gastro Intestinale Tumoren	-		+/- 2 850 000 (jaar 3)
				60 (40 nieuwe Gevallen/jaar)			

Wetende dat het globale budget dat in 2005 aan de farmaceutische specialiteiten is toegekend zo'n 3 miljard euro bedraagt<sup>(19)</sup>, vertegenwoordigt de eenvoudige optelling van de budgetten voor de vergoedbare weesgeneesmiddelen in 2005 - zie bovenstaande tabel 3 - bijna 1% van dit globale budget. Bij het zien van die cijfers lijkt het evident dat, teneinde niet alleen het budget te omkaderen maar ook de toediening van dit geneesmiddel in de indicatie waarvoor het een duidelijke therapeutische waarde heeft, de CTG modaliteiten tracht vast te stellen volgens welke dit type van geneesmiddel door een geneesheer-specialist in het betreffende domein moet worden voorgeschreven en volgens welke de vergoeding wordt beperkt tot de verpakkingen die in ziekenhuizen worden afgeleverd. Naast die recurrente voorwaarden is de voorschrijvende geneesheer - die dus de aanvrager is - ertoe gehouden om de elementen te bezorgen die de diagnose bevestigen, alsook de medische balansen die tijdens de behandeling zijn opgemaakt om de doeltreffendheid ervan op te volgen.

De oprichting van de Colleges in augustus 2004 had tot doel de kennis van de adviserend geneesheren betreffende zeldzame ziektes te onderbouwen, maar ook het goede gebruik van die geneesmiddelen, alsook hun geraamde budgetten op te volgen. Het koninklijk besluit van 8 juli 2004 betreffende de vergoeding van weesgeneesmiddelen heeft hen de middelen gegeven, via een voorstel tot wijziging van de vergoedingsmodaliteiten, om elke eventuele ontsporing van het budget te voorkomen door een beperking van de toegangsvoorwaarden.

#### IV. CONCLUSIE

De zeldzame ziektes - zo'n 7 000 in het totaal - treffen ruim 25 miljoen mensen, en dat alleen al in Europa. Helaas zijn die ziektes nog erg miskend en bestaan er maar weinig behandelingen voor. Europa is zich van dat probleem voor die patiënten bewust geworden en heeft in samenwerking met sommigen van haar lidstaten, een uitgebreid programma opgezet dat het wetenschappelijke onderzoek en de ontwikkeling van therapeutische middelen voor die erg invaliderende aandoeningen moet bevorderen.

Momenteel zijn 260 producten als weesgeneesmiddelen aangewezen waarvan 22 als dusdanig in Europa zijn geregistreerd. In België worden 11 weesgeneesmiddelen vergoed. Voor 9 van hen is een College van geneesheren voor weesgeneesmiddelen opgericht. Indien de verschillende actoren van de Belgische sociale zekerheid een College per vergoedbaar weesgeneesmiddel willen blijven oprichten, zal het aantal Colleges binnen enkele jaren tot een zestigtal groeien.

De noodzaak om Colleges van geneesheren voor weesgeneesmiddelen op te richten, is meermaals gebleken. Die Colleges maken het immers mogelijk om, via jaarverslagen, het toegekende budget te behouden, de vergoedingsmodaliteiten eventueel aan te passen op basis van de ervaring in de behandeling van de verschillende vergoedingsaanvragen, maar ook om de kennis van de adviserend geneesheren over die complexe aandoeningen te verruimen door het wetenschappelijke advies van de leden van de Colleges betreffende de vergoedingsaanvragen te vragen.

Céline HERMANS

Attaché

Dienst voor geneeskundige verzorging

Beheerseenheid voor farmaceutische specialiteiten

(Vertaling)

---

(19) Persbericht van de Ministerraad - Verstrekkingen betreffende farmaceutische specialiteiten; <http://presscenter.org>.