

Voorstel van Resolutie betreffende een actieplan inzake zeldzame aandoeningen en weesgeneesmiddelen

Toelichting

De Europese Commissie omschrijft zeldzame ziekten als levensbedreigende of chronische ziekten waarvan de prevalentie zo laag ligt dat bijzondere inspanningen nodig zijn om ze het hoofd te bieden. Men spreekt van een zeldzame aandoening in Europa wanneer minder dan vijf personen op 10 000 aan de ziekte lijdt.

Momenteel zijn er bijna 7000 zeldzame aandoeningen gekend. Elke week worden er ergens ter wereld vijf nieuwe pathologieën beschreven, waarvan 80 % van genetische oorsprong. Zes tot acht procent van de wereldbevolking zou er door getroffen zijn. In Europa gaat het om zo'n 27 miljoen personen of tot 7 % van de totale Europese bevolking.

Twee derde (65 %) van de zeldzame aandoeningen zijn ernstig en invaliderend. Kenmerkend voor deze pathologieën is :

- dat de klinische symptomen ontstaan op zeer jonge leeftijd (in twee gevallen op drie voor de leeftijd van twee jaar);
- chronische pijn bij één ziek op vijf;
- een motorisch, zintuiglijk of intellectueel gebrek in de helft van de gevallen, wat in één op de drie gevallen leidt tot een beperking van de autonomie;
- negatieve gevolgen op de levensverwachting in bijna de helft van de gevallen; zeldzame aandoeningen veroorzaken 35 % van de overlijdens voor de leeftijd van 1 jaar, 10 % van de overlijdens tussen 1 en 5 jaar en 12 % van de overlijdens tussen 5 en 15 jaar.

De meeste zeldzame ziekten zijn onvoldoende gekend door de zorgverstrekkers. Dit kan leiden tot verkeerde diagnoses wat op zijn beurt bron is van veel leed voor de patiënt en zijn familie en een laattijdige behandeling. Het gebrek aan informatie leidt ertoe dat patiënten die lijden aan een zeldzame aandoening niet altijd de beste zorgen krijgen toegediend.

Het is (nog) niet mogelijk om voor elke zeldzame aandoening een specifiek beleid te voeren maar een globaal beleid inzake zeldzame ziekten is wenselijk. Europa heeft het belang van een globale, gecoördineerde aanpak reeds lang ingezien. Weesgeneesmiddelen richten zich per definitie tot een klein aantal patiënten. Ze zijn dan ook doorgaans vrij duur en hun ontwikkeling is complex en niet altijd evident. Op Europees niveau is daarom een weesgeneesmiddelenbeleid ingesteld met als doel de ontwikkeling van deze geneesmiddelen te bevorderen.

Op 16 december 1999 werd de Europese richtlijn nr. 141/2000 betreffende weesgeneesmiddelen goedgekeurd. Ze werd gepubliceerd op 22 januari 2000 en is op 27 april 2000 in werking getreden. Deze richtlijn biedt incentives om de ontwikkeling en commercialisering van weesgeneesmiddelen te bevorderen. Het Committee on Orphan Medicinal Products (COMP) werd in maart 2000 binnen de EMEA opgericht. De Belgische vertegenwoordiger in dit comité is Dr. André Lhoir. Dit is het eerste Europese comité waarin patiënten permanent vertegenwoordigd zijn. In navolging van art. 10 van de Europese richtlijn 141/2000, bracht de COMP op 25 juli 2005 verslag uit over haar activiteiten van april 2000 tot april 2005. Hieruit blijkt dat er gedurende die periode meer dan 260 producten als

weesgeneesmiddel werden gedesigneerd, voor meer dan 200 verschillende aandoeningen. Voor 22 producten werd reeds een Europese verkoopvergunning verleend.

Voor de periode 1999-2003 werd een actieprogramma opgesteld om alle EU-burgers een hoge graad van bescherming inzake zeldzame ziekten te verstrekken. Er werd een Task Force opgericht die het Directoraat Volksgezondheid van de Europese Commissie moet adviseren inzake zeldzame ziekten en die een forum creëert voor discussie en informatieuitwisseling. Bijzondere aandacht ging hierbij uit naar het verbeteren van de kennis van zeldzame ziekten en de toegang tot deze informatie mogelijk te maken. Zeldzame ziekten blijven één van de prioriteiten van het Europees programma Volksgezondheid voor de periode 2003-2008. Er zijn heel wat projecten om de informatieuitwisseling te verbeteren en een coördinatie op Europees niveau te ondersteunen om de continuïteit van het werk en grensoverschrijdende samenwerking op het vlak van zeldzame ziekten te ondersteunen. Tijdens de Europese conferentie over zeldzame aandoeningen op 21 juni 2005 stelde de heer Fernand Sauer, directeur Volksgezondheid van de Europese Commissie namens de heer Markos Kyprianou, commissaris voor Volksgezondheid, dat het probleem van de zeldzame ziekten een prioritaire aangelegenheid zal blijven in het Volksgezondheidsprogramma voor de periode 2007-2013.

Verschillende van onze buurlanden hebben terzake reeds initiatieven ontwikkeld. In Nederland is momenteel een discussie aan de gang omtrent het bevorderen van toegang tot dure geneesmiddelen en weesgeneesmiddelen. De bevoegde minister heeft er plan klaar voor een apart terugbetalings- en financieringsbeleid inzake weesgeneesmiddelen. Academische ziekenhuizen waar weesgeneesmiddelen die op de lijst staan, worden toegediend, zouden voor 95 % vergoed worden door de Nederlandse overheid, en hoeven slechts de overblijvende 5 % uit hun eigen budget te bekostigen. Er wordt hiervoor een budget van 24 miljoen euro beschikbaar gesteld. Nederland heeft ook sinds enige jaren een Stuurgroep Weesgeneesmiddelen opgericht die advies geeft inzake beleid op dit gebied en samengesteld is uit vertegenwoordigers van alle betrokken partijen, t.t.z. patiënten, behandelende geneesheren, onderzoekers, het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen, het College voor Zorgverzekeringen en zorgverzekeraars, plus de farmaceutische industrie (bedrijven en associaties)

De Franse regering heeft een nationaal plan betreffende zeldzame ziekten opgesteld. Voor de Franse overheid is dit een prioritair dossier : patiënten die lijden aan een zeldzame ziekte moeten gelijke rechten hebben inzake diagnose, behandeling en zorgvoorziening. Het actieplan gaat in vanaf 2005 en loopt tot 2008. Het voorziet in een investering van meer dan 100 miljoen euro.

Het plan geeft tien aanbevelingen met concrete actiepunten die bepalen hoe ze in de praktijk moeten worden omgezet en geeft ook de kostprijs van elk van deze punten.

Een overzicht van dit plan :

1. Onderzoek naar de epidemiologie

De Franse overheid wil op vijf jaar tijd een coherent beleid uitbouwen op het vlak van epidemiologie. Het 'Institut de veille sanitaire' moet dit systeem uitbouwen, in overleg met alle belangengroepen, om zo een beter overzicht te krijgen van de noden, de prevalentie, de gevolgen, enz. De ziekten zullen gerangschikt worden volgens verschillende factoren zoals mortaliteit, morbiditeit, handicap, prevalentie en de verspreiding van de ziekte.

2. De erkenning van specifieke noden inzake terugbetaling en toegang tot therapie
Voor zeldzame ziekten kan niet worden gewerkt met de bestaande lijsten van producten met terugbetaling. Zeldzame ziekten moeten opgenomen worden op de lijst van chronische ziekten met een afzonderlijke regeling voor terugbetaling en terugbetaling moet mogelijk zijn, zelfs wanneer het geneesmiddel buiten indicatie voorgeschreven wordt. Daarnaast moet er een eenvoudiger terugbetalingsprocedure komen waarbij ook andere elementen in rekening moeten kunnen gebracht worden zoals reiskosten naar het 'centre of excellence' en de vorming van zorgverstrekkers om onterechte weigering tot terugbetaling, vaak gebaseerd op een gebrek aan begrip, te vermijden. Kortom, de regels voor gewone geneesmiddelen kunnen hier niet toegepast worden en daarom moet het systeem aangepast worden zodat er uitzonderingen kunnen gemaakt worden.

3. Informatie voor artsen, patiënten en publiek

De informatie moet samengebracht en beschikbaar gemaakt worden. Er moeten ook meer fondsen vrijgemaakt worden voor speciale telefoonlijnen. De informatie moet aangepast worden aan de doelgroep. Andere betrokkenen zoals sociale werkers moeten ook vorming krijgen.

4. Vorming voor zorgverstrekkers zodat ze zeldzame ziekten beter herkennen

Zeldzame ziekten moeten opgenomen worden in de medische en paramedische opleiding.

5. Screening en testing

Er moet een screening georganiseerd worden en er moeten O&O-fondsen ter beschikking gesteld worden om nieuwe tests te ontwikkelen, om de indicaties van screeningstests te valideren, om de toegang tot deze tests en tot nieuwe reproductietechnieken te verbeteren en ze volledig terug te betalen. Europa moet aanbevelingen doen voor een Europees screeningbeleid.

6. De toegang tot behandeling en de kwaliteit van de zorg verbeteren

Er moeten multidisciplinaire referentiecentra opgericht worden. De lijst van deze centra moet wijd verspreid worden zodat patiënten en zorgverstrekkers weten dat deze centra bestaan. Hun werk moet gecoördineerd worden in netwerken. Er wordt voorzien in de oprichting van zo'n 100 referentiecentra over een periode van 5 jaar.

7. De inspanningen voor weesgeneesmiddelen verderzetten

De Franse regering staat achter de Europese richtlijn 141/2000 en zal er nauwlettend op toezien dat deze richtlijn betreffende weesgeneesmiddelen behouden blijft. Nationale reeds bestaande steunmaatregelen moeten voortgezet worden, zoals bv. fiscale uitzonderingen, het ATU-systeem waardoor geneesmiddelen die nog niet zijn goedgekeurd toch reeds toegankelijk gemaakt worden voor patiënten die lijden aan een zeldzame ziekte, de opname van weesgeneesmiddelen op de lijst van innovatieve en dure gezondheidsproducten, enz.

8. Ondersteunende maatregelen voor de personen die zorgen voor de patiënten

De band tussen de centra voor personen met een handicap en de referentiecentra zoals vermeld onder punt 6, moet versterkt worden. Er moet contact gelegd worden met de patiëntenorganisaties in verband met de steun en informatie die ze verstrekken. Een ander element is het dekken van reis- en accommodatiekosten van personen die patiënten

vergezellen naar de centra. Belangrijk is ook het verlenen van bijstand aan de familie op het moment van de diagnose.

9. Het onderzoek naar zeldzame ziekten aanmoedigen

Het onderzoeksprogramma in ziekenhuizen moet meer gericht worden naar zeldzame ziekten.

10. Het instandhouden en vergroten van de nationale en internationale coördinatie

De bestaande programma's op Frans niveau moeten behouden en verder uitgebreid worden. Op Europees niveau moet er gecoördineerd worden op het vlak van diagnostische testen (beschikbaarheid en kwaliteitscontrole), certificering van referentiecentra, het verlenen van fondsen voor onderzoek, de ontwikkeling van indicatoren voor volksgezondheid en het uitwisselen van ervaringen. Er moeten vooral bijkomende fondsen voorzien worden om dit alles te verwezenlijken.

Voorstel van resolutie

De Kamer van Volksvertegenwoordigers,

- A. overwegende dat tot 7 % van de EU-bevolking lijdt aan een zeldzame ziekte en dat er gemiddeld wekelijks vijf nieuwe pathologieën beschreven worden;
- B. overwegende dat zeldzame ziekten vaak onvoldoende gekend zijn door zorgverstrekkers, wat leidt tot een verkeerde diagnose en niet-optimale behandeling;
- C. overwegende dat er sinds 1999 op Europees niveau een weesgeneesmiddelenbeleid gevoerd wordt om de ontwikkeling van deze geneesmiddelen te bevorderen, en dat Europa de lidstaten oproept om op dit beleid verder te bouwen;
- D. overwegende dat het probleem van de zeldzame aandoeningen en weesgeneesmiddelen ook in het Europees Volksgezondheidsprogramma 2007-2013 een prioritaire aangelegenheid zal blijven;
- E. overwegende dat de Franse regering in 2005 een actieplan betreffende zeldzame ziekten heeft opgesteld;
- F. overwegende dat ook de Nederlandse bevoegde minister een plan klaar heeft om de toegang tot weesgeneesmiddelen te bevorderen, en een Stuurgroep Weesgeneesmiddelen heeft opgericht;

vraagt de federale regering,

1. een Belgische Stuurgroep 'Weesgeneesmiddelen' op te richten die bestaat uit vertegenwoordigers van patiënten, artsen, overheid, mutualiteiten, wetenschappers en de industrie om een betere kennis over zeldzame ziektes en weesgeneesmiddelen in België te bevorderen en een consensus te bereiken over de nodige beleidsmaatregelen;
2. naar het Frans voorbeeld in België een actieplan op te stellen om zeldzame aandoeningen beter bekend te maken bij de zorgverstrekkers en het grote publiek, om de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen aan te moedigen en om de toegang tot weesgeneesmiddelen te bevorderen;
3. een prioriteitenlijst op te stellen van zeldzame aandoeningen waarvoor een nieuwe therapie moet ontwikkeld worden;
4. mechanismen in te stellen en te ondersteunen op nationaal en Europees niveau om informatie-uitwisseling inzake zeldzame aandoeningen te verbeteren en te bevorderen.

Yolande Avontroodt
Volksvertegenwoordiger