



BELGIË

EUROPLAN RONDETAfel

In de context van het gezamenlijke actieprogramma RD-ACTION van de EU

6 oktober 2017, Brussel

VERSLAG



Co-funded by
the Health Programme
of the European Union



VOORWOORD

In verschillende Europese landen werden nationale EUROPLAN-workshops of -vergaderingen georganiseerd in het kader van een gecoördineerd Europees initiatief om de ontwikkeling van Nationale Plannen of Strategieën voor Zeldzame Ziekten te stimuleren, waarin men oog heeft voor de onbeantwoorde noden van patiënten met een zeldzame ziekte in Europa.

De bedoeling van deze Nationale Plannen en Strategieën is om bij de integratie van de EU-beleidslijnen concrete nationale maatregelen te implementeren in belangrijke domeinen als onderzoek naar en de codering van zeldzame ziekten, diagnoses, zorg en behandelingen voor patiënten met zeldzame ziekten en aangepaste sociale voorzieningen.

De nationale EUROPLAN-conferenties en -workshops worden in alle landen georganiseerd door een Nationale Alliantie van verenigingen voor patiënten met zeldzame ziekten en EURORDIS - Rare Diseases Europe. **Nationale Allianties voor Zeldzame Ziekten en Patiëntenorganisaties kunnen een cruciale rol spelen bij het ontwikkelen van een nationaal beleid rond zeldzame ziekten.**

De gedeelde filosofie en het format van de nationale EUROPLAN-conferenties/-workshops is ook de grote sterkte:

- **Geleid door patiënten:** De Nationale Allianties zijn het best geplaatst om aan de noden van deze patiënten aan te kaarten;
- **Verskillende stakeholders:** De Nationale Allianties nodigen alle relevante stakeholders uit om een breed debat te kunnen voeren;
- **De nationale en Europese benadering van een zeldzameziektenbeleid integreren**
- **Deel uitmaken van een overkoepelende Europese actie** (project of gezamenlijke actie) waar de legitimiteit van EUROPLAN op gestoeld is, en die ook het organisatorisch kader voor de nationale EUROPLAN-conferenties/-workshops voorziet;
- **Nationale overheden helpen om de verplichtingen van de Aanbeveling van de Raad de dato 8 juni 2009 over actie rond zeldzame ziekten na te leven.**

De Nationale Allianties en EURORDIS zijn al sinds 2008 betrokken bij het ijveren voor goedkeuring en implementatie van Nationale Plannen en Strategieën voor zeldzame ziekten. In totaal vonden er 41 nationale EUROPLAN-conferenties plaats in het kader van het eerste EUROPLAN-project (2008-2011) en het gezamenlijk actieplan van het Europese Comité van Deskundigen voor Zeldzame Ziekten - EUCERD (2012-2015).

Binnen RD-ACTION (2015-2018, het tweede gezamenlijk actieplan voor zeldzame ziekten van de EU), blijven Nationale Allianties en EURORDIS betrokken bij een gecoördineerde Europese inspanning om te pleiten voor nationale beleidsmaatregelen die patiënten met zeldzame ziekten helpen, en om deze beleidsmaatregelen te promoten.

De nationale EUROPLAN-conferenties of -workshops die in de context van RD-ACTION georganiseerd worden focussen op specifieke thema's die door de Nationale Allianties worden aangebracht als zijnde de belangrijkste prioriteiten in het overleg met de nationale overheden. Deze thematische prioriteiten worden besproken tijdens sessies waarin alle stakeholders relevante maatregelen of manieren om de volledige implementering van reeds goedgekeurde maatregelen te bevorderen bespreken.

Elke Nationale Alliantie schrijft een verslag van de nationale workshop, volgens een sjabloon zoals dat hieronder.

ALGEMENE INFORMATIE

Land	België
Nationale Alliantie (Organisator)	RaDiOrg.be
Datum & plaats van de nationale workshop/conferentie	6 oktober, Brussel
Website	www.radiorg.be
Leden van de stuurgroep	RaDiOrg en het Fonds Zeldzame Ziekten en Weesgeneesmiddelen, beheerd door de Koning Boudewijnstichting
Thema	Governance van het Belgische Nationale Plan voor Zeldzame Ziekten
Bijlagen:	I. Dagprogramma II. Deelnemerslijst (per categorie)

VERSLAG

EUROPLAN-RONDETAfel over de governance van het Belgische plan voor Zeldzame Ziekten

Opmerking: De standpunten van de deelnemers zijn enkel die van henzelf, en geven niet de standpunten van RaDiOrg weer in de context van deze rondetafelconferentie.

DIAGNOSE

De vertegenwoordigers van het Wetenschappelijk Instituut Volksgezondheid (WIV) rapporteren kort over de status van de maatregelen rond diagnostiek die in het Plan zijn opgenomen: het centraal register voor zeldzame ziekten is opgericht en er is een budget vrijgemaakt voor DNA-testen die naar het buitenland gestuurd worden.

Ondanks deze vooruitgang worden de centra voor menselijke erfelijkheid die deze **DNA-testen** uitvoeren geconfronteerd met een aantal problemen die gerelateerd zijn aan dit nieuwe type testen (exoom- of genoomanalyses bijvoorbeeld) en de terugbetaling ervan. Zo is het bijvoorbeeld extreem moeilijk om binnen het kader van de huidige nomenclatuur moderne testen te ontwikkelen.

Een tweede aspect gaat over **testen die naar het buitenland gestuurd worden**, wat net voor zeldzame ziekten erg belangrijk is. Voor sommige ziekten bestaan er zelfs maar een paar laboratoria wereldwijd die deze testen kunnen uitvoeren. Het voorziene budget voor de Conventie Genetisch Advies is beperkt, en daarom worden testen alleen naar het buitenland gestuurd als een definitieve diagnose onmiddellijk therapeutisch voordeel biedt of als er een nood is aan genetisch advies voor de familie.

Over het algemeen worden genetische testen in België ondergefinancierd. Op dit moment bedraagt het budget voor genetica in België 40 miljoen euro, waarvan slechts 2 miljoen euro is voorbehouden voor genetisch advies. Per capita ligt dit bedrag veel lager dan in onze buurlanden, waaronder Nederland en Duitsland.

Dat zorgt voor een aantal problemen. Aan de ene kant worden niet alle patiënten gelijk behandeld, omdat sommigen geen definitieve diagnose krijgen als hun test niet naar het buitenland gestuurd wordt. Deze patiënten kunnen hun aandoening dus geen naam geven, en dat op zich is al een probleem voor de patiënt, zeker op psychologisch vlak. Aan de andere kant is het gevolg ook dat als er ooit een behandeling gevonden wordt voor die bepaalde zeldzame ziekte, dat de patiënt daar dan geen toegang toe heeft, omdat hij/zij niet met een definitieve diagnose is opgenomen in de databanken of registers.

In het kader van de functie Zeldzame Ziekten krijgen patiënten toegang tot een diagnose via de **raadplegingen voor genetisch advies** of multidisciplinair overleg. De functie Zeldzame Ziekten is een ziekenhuisfunctie om de zorg voor patiënten met een Zeldzame Ziekte mogelijk te maken. Deze zorg betekent zo snel mogelijk een diagnose stellen, patiënten opvolgen en doorsturen naar de meest geschikte medische eenheden voor hun pathologie. Natuurlijk moet men aan verschillende voorwaarden voldoen. In België zijn er 7 Functies Zeldzame Ziekten erkend. Maar ook hier worden patiënten met verschillende problemen geconfronteerd. Het feit dat deze functies nog steeds niet gefinancierd zijn, ook al zijn ze sinds juni 2016 erkend, maakt dat de opvangstructuren niet kunnen worden opgericht. Voor patiënten blijven de functies zeldzame ziekten vandaag nog steeds een abstract concept, zonder positieve impact op hun dagelijks leven. De afgevaardigde van het FOD bevestigt dat er inderdaad een budget voorzien is, en dat dit ten laatste in juli 2018 zou moeten worden vrijgegeven. Aan de andere kant is het ook zo dat België te weinig genetici telt terwijl de vraag naar genetische tests, niet alleen voor zeldzame ziekten (pediatrie, kanker, enz.), de laatste jaren zeer sterk gestegen is. Een van de verklaringen voor dit gebrek aan genetici is dat dit specialisme tot heel recent niet erkend was in België.

Er is ook een gebrek aan financiering voor deze genetische tests, ondanks de oprichting van de conventie Genetisch Advies door het RIZIV enkele jaren geleden.

Al deze elementen samen betekenen dat patiënten erg lang moeten wachten op een afspraak, waardoor ze ook lang moeten wachten op een diagnose. Misdiagnose komt ook regelmatig voor bij patiënten met zeldzame ziekten, zoals aangegeven door de afgevaardigde van de PH-vereniging. In het geval van pulmonale arteriële hypertensie, een evolutieve aandoening, betekent een vertraagde diagnose dat de aandoening dan misschien al in een vergevorderd stadium zit met dramatische en onomkeerbare gevolgen voor de patiënt. Eén van de punten die patiënten identificeren is het gebrek aan sensibilisering bij eerstelijns hulpverleners (huisartsen en specialisten) rond zeldzame

ziekten. In het geval van PH, waarvoor er in België twee centra bestaan (die niet officieel erkend zijn), ligt de moeilijkheid erin om in de eerste lijn de aandoening te herkennen zodat de patiënten naar deze centra gestuurd kunnen worden.

AANBEVELINGEN

- (1) De functies zeldzame ziekten moeten snel gefinancierd worden om de structuren voor de opvang en ondersteuning van patiënten op te richten voor patiënten die wachten op een diagnose. Deze structuren zijn multidisciplinair, waardoor de dossiers multidisciplinair nagelezen kunnen worden en de patiënten naar de centra gestuurd kunnen worden die hen de beste zorg kunnen geven.
- (2) De autoriteiten dienen de budgetten voor genetisch advies en voor het versturen van testen naar het buitenland sterk op te trekken. Meer budget voorzien voor genetica is een kwestie van democratie en gelijke toegang tot een diagnose voor alle patiënten.
- (3) Het is belangrijk om de eerstelijnsartsen te sensibiliseren, onder andere door zeldzame ziekten in de cursus geneeskunde op te nemen. De sensibilisering van studenten moet onder andere gebeuren door het opnemen van getuigenissen van patiënten over een misdiagnose. Hiervoor moet men contact opnemen met de Faculteiten Geneeskunde.
- (4) Om de vertragingen voor de raadplegingen genetica te verkleinen, zijn er de volgende opties:
 - De mogelijkheid dat genetisch advies (genetic counselling) niet alleen verstrekt kan worden door artsen, maar ook door “genetische consulenten”
 - De mogelijkheid om beter te selecteren naargelang de reden voor de genetische raadpleging
- (5) Bepaalde zeldzame ziekten identificeren voor neonatale testen (zoals mucoviscidose) en een overleg organiseren met de deelregeringen die over de materie bevoegd zijn.
- (6) Het belang van de integratie van Europese coderingsstandaarden in het centraal register van zeldzame ziekten (ICD-code, Orpha-code).

OPTIMALISATIE VAN DE ZORG VOOR PATIËNTEN MET EEN ZELDZAME ZIEKTE

Dit luik van het Plan zeldzame ziekten omvat de erkenning van functies en het oprichten van netwerken rond zeldzame ziekten, twee maatregelen om de oprichting van nieuwe referentie-/expertisecentra voor te bereiden.

Er lijkt echter geen federale financiering begroot te zijn voor medio 2018 voor deze maatregel.

Bij de goedkeuring van het Plan in december 2013 vielen de relevante aspecten van volksgezondheid onder de bevoegdheid van de Federale regering. In tussentijd zijn bepaalde bevoegdheden geregionaliseerd door de zesde staatshervorming. Daardoor zullen bepaalde maatregelen uit het Belgisch plan voor Zeldzame Ziekten een beetje anders uitgewerkt worden in het noorden en het zuiden van het land.

Deze staatshervorming heeft bijvoorbeeld ook de bevoegdheid om de erkenningsvoorwaarden voor expertisecentra vast te leggen overgeheveld naar de “gefedereerde entiteiten” (de deelstaten), terwijl het federale niveau blijft bevoegd voor de benoeming van deze centra.

Daarenboven zijn er ook andere hervormingen opgestart sinds 2013, waaronder een hervorming van de ziekenhuisorganisatie die ook een impact heeft op de uitvoering van het Belgisch plan voor Zeldzame Ziekten en dan vooral op de maatregelen met betrekking tot de patiëntenopvolging.

Voor opvolging en monitoring voorziet actie 20 van het Belgisch plan voor Zeldzame Ziekten de oprichting van een speciaal team binnen de FOD Volksgezondheid. Deze actie voorziet ook in de oprichting van een federale stuurgroep die de uitvoering van het Plan overziet. Deze stuurgroep komt regelmatig samen om de uitvoering van het Belgisch plan op te volgen en het aan te passen indien het niet werkt.

Wat betreft de realisatie was de FOD Volksgezondheid bevoegd voor de regelgeving gelinkt aan de creatie van functies en netwerken rond zeldzame ziekten door het publiceren van de nodige Koninklijke Besluiten in 2014. Daarna werden de functies door de federale regering erkend in juni 2016. Nu moeten de netwerken voor zeldzame ziekten opgericht worden.

Het Vlaamse gewest lijkt op dit vlak een grote voorsprong te hebben. Sinds de publicatie van het Koninklijk Besluit betreffende de Functie zeldzame ziekten heeft de Vlaamse regering de Vlaamse universitaire ziekenhuizen gesteund in het behalen van deze erkenning. De 4 universitaire ziekenhuizen zijn onmiddellijk gaan nadenken over de oprichting van netwerken rond zeldzame ziekten. De concrete oprichting van de eerste 5 netwerken (rond 5 zeldzame ziekten/groepen van zeldzame ziekten) werd op 9 oktober 2017 opgestart. De eerste 5 groepen ziekten die reeds in zo'n netwerk zijn opgenomen zijn metabole aandoeningen, neuromusculaire aandoeningen, multisystemische hart- en vaatziekten, bindweefsel- en musculoskeletale aandoeningen en botziekten. Om dit werk te coördineren werd er een orgaan opgericht (VNZZ - Vlaams Netwerk voor Zeldzame Ziekten) waar de universitaire ziekenhuizen aan deelnemen (Leuven, Gent, Antwerpen, UZ Brussel), met Zorgnet-Icuro (koepel voor zorgvoorzieningen, vooral de algemene ziekenhuizen) en Domus Medica (huisartsenvereniging), VPP (Vlaams Patiëntenplatform en RaDiOrg als raadgevende partners. Hoewel dit over Vlaamse netwerken gaat, gaan deze organen ook samenwerkingen aan met netwerken in andere gewesten.

In tegenstelling tot de Vlaamse ziekenhuizen worden de Franstalige ziekenhuizen niet door hun regering ondersteund. Elk ziekenhuis met een Centrum voor Menselijke Erfelijkheid heeft zich ingezet om de erkenning voor de Functie zeldzame ziekten te behalen. De drie universitaire ziekenhuizen met een Centrum voor Menselijke Erfelijkheid hebben deze ook gekregen. Op dit moment proberen St-Luc (UCL), Erasmus (ULB) en Sart-Tilman (ULG) samen een netwerk op te richten met het IPG, het Instituut voor Pathologie en Genetica (dit centrum voor menselijke erfelijkheid heeft de functie zeldzame ziekten niet), de eerstelijnszorg en patiëntenorganisaties. Het doel is ook om in nauw contact te staan met de Vlaamse netwerken.

Het begrip netwerk wordt bijvoorbeeld op een abstracte manier beschreven in het Koninklijk Besluit, en dat betekent dat de deelstaten dit dus mogelijk anders kunnen interpreteren.

Er zijn minstens 3 verschillende niveaus mogelijk: (1) netwerk van universitaire ziekenhuizen, (2) netwerk van universitaire en perifere ziekenhuizen en (3) netwerken op Europees niveau (ERN of European Reference Networks). Al deze netwerkniveaus zijn belangrijk. Het Koninklijk Besluit geeft niet alle details, waardoor er een zekere onduidelijkheid bestaat, maar waardoor een implementering op maat mogelijk is.

Voor patiëntenopvolging is het belangrijk dat er een link is met het centraal register voor zeldzame ziekten. De gegevens in dit register zullen niet onmiddellijk beschikbaar zijn voor patiënten maar wel voor zorgverleners. Zij zullen het register dan ook aanvullen. Om ervoor te zorgen dat het register een succes wordt, moet het eenvoudig zijn, snel in te implementeren en moet het nuttige en interessante informatie bevatten.

Voor patiënten en hun vertegenwoordigers is dit absoluut geen tastbare vooruitgang. Patiënten hebben nood aan een multidisciplinaire opvang, waarbij ook rekening wordt gehouden met de overgang naar de volwassenheid. Het besluit rond de functies en de oprichting van deze netwerken zijn positieve elementen maar moeten ook vertaald worden in concrete zorg voor patiënten in expertisecentra.

Voor patiënten is het essentieel dat deze centra ook effectief worden opgebouwd rond echte expertise in zeldzame ziekten. Het Wetenschappelijk Instituut voor Volksgezondheid is een paar jaar geleden begonnen met deze expertise in België in kaart te brengen, maar heeft dit project daarna stopgezet.

- (7) Om de aanbeveling (1) over de dringendheid van de financiering van Coördinatoren van de Functies zeldzame ziekten extra te onderstrepen, vermelden we nog even dat zij de patiënt doorheen het verloop van de ziekte begeleiden.
- (8) Voor de coördinatoren van de netwerken zeldzame ziekten dient er ook snel een financiering voorzien te worden om de activiteiten van het netwerk en de deelname aan internationale netwerken te organiseren.
- (9) De 9 Belgische ministers die bevoegd zijn voor Volksgezondheid (de federale overheid en de deelstaten) moeten een werkgroep oprichten gewijd aan zeldzame ziekten die thema's kan aanbrengen voor de Interministeriële Conferentie Volksgezondheid. Het is ook belangrijk dat de Franstalige functies zeldzame ziekten politieke steun krijgen van de regionale overheden.
- (10) Patiënten met zeldzame ziekten, hun vertegenwoordigers en alle deelnemers moeten door de bevoegde autoriteiten regelmatig geïnformeerd worden over de voortgang van het Belgisch plan voor Zeldzame Ziekten. Deze informatie wordt dan verstrekt door de federale stuurgroep zeldzame ziekten.
- (11) Het in kaart brengen van expertise in zeldzame ziekten moet opnieuw geactiveerd worden.
- (12) Het vraagstuk rond de overgang naar de volwassenheid moet worden besproken in het kader van de oprichting van expertisecentra voor zeldzame ziekten.
- (13) Het begrip “netwerken” moet verduidelijkt worden om ervoor te zorgen dat de uitwerking van de netwerken zeldzame ziekten in beide landsdelen hetzelfde is.
- (14) Op 1/10/2017 werd de functie referentieapotheker in het leven geroepen in België. Bij het ontwikkelen van netwerken met de eerstelijnszorg is het belangrijk om ook hiermee rekening te houden.
- (15) We moeten erover waken dat er bij de oprichting van de netwerken ook rekening wordt gehouden met zeer zeldzame ziekten.

WEESGENEESMIDDELEN EN NIET TEN LASTE GENOMEN MEDISCHE NODEN

De ontwikkeling van weesgeneesmiddelen betekent dat men tegemoet kan komen aan medische noden die tot op heden niet ten laste genomen worden.

De laatste 17 jaar is het aantal weesgeneesmiddelen sterk gestegen. De Europese regelgeving over deze materie heeft een belangrijke rol gespeeld in deze evolutie, maar zou tot niets geleid hebben zonder de innovatiecapaciteit van de farma-industrie.

De echte moeilijkheid is HOE KUNNEN WE PATIËNTEN TOEGANG GEVEN TOT DIE INNOVATIE? We moeten dus innovatie die aan de noden van de patiënten tegemoetkomt voorrang geven. Met dat doel is er dan ook binnen het RIZIV een werkgroep opgericht, voor het opnemen van actie 15 "Inventaris van de niet ten laste genomen noden". De patiëntenvertegenwoordigers betreuren echter het gebrek aan doeltreffendheid wat betreft het behalen van de ambities opgesteld bij de oprichting van de werkgroep.

Er zijn verschillende mechanismen om patiënten versneld toegang te geven tot innovatieve behandelingen: deelname aan klinische studies, het gebruik van een procedure voor "compassionate use", het Bijzonder Solidariteitsfonds van het RIZIV of de ETR-procedure (Early Temporary Reimbursement). Deze ETR-procedure is ontwikkeld door maatregel 14 van het Belgische plan voor Zeldzame Ziekten.

Maatregel 14 betreft Unmet Medical Need (UMN). Het doel is om de toegang tot innovatieve geneesmiddelen verder aan te vullen met een *"snellere terbeschikkingstelling en snellere tenlasteneming door de ziekteverzekering van de farmaceutische specialiteiten voor de innoverende behandelingen van ernstige of dodelijke aandoeningen, waarvoor er geen therapeutisch alternatief bestaat. Voor de geneesmiddelen die nog niet vergund zijn, moet dat voor hun registratie op Europees niveau en voor de reeds vergunde specialiteiten moet dat gebeuren voor de erkenning van een nieuwe indicatie, waarvoor een onbeantwoorde nood bestaat."*

Het ETR-mechanisme is in 2014 reeds ontwikkeld, vooral in samenwerking met vertegenwoordigers van de farma-industrie.

Na 2 jaar moeten we vaststelling dat dit een mislukte poging is, want er in dit kader geen enkel dossier werd ingediend. Eén van de redenen hiervoor was dat de industrie vreesde dat de vaste prijs voor de UMN-procedure ook de referentie zou worden voor de klassieke terugbetalingsprocedure voor het desbetreffende geneesmiddel. Om deze angst gedeeltelijk weg te nemen, is het forfait-principe geïntroduceerd waarna twee dossiers werden ingediend. Deze dossiers worden nu bestudeerd door het College van artsen-directeuren van het RIZIV.

De toegang tot geneesmiddelen in het algemeen, en specifiek tot weesgeneesmiddelen, volgt de terugbetalingsprocedure van het RIZIV (Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen, CTG), en maakt dus deel uit van de procedure die in artikel 81 genoemd wordt. Dit artikel stelt dat er een contract ondertekend moet worden tussen het bedrijf en de overheid. Het aantal contracten in België stijgt sterk. Volgens de sector kan de laatste jaren bijna geen enkel innovatief geneesmiddel nog op de Belgische markt verkocht worden zonder zo'n contract. De sector stelt ook dat deze contracten er tot nu voor gezorgd hebben dat Belgische patiënten toegang hebben tot nieuwe

geneesmiddelen. De onduidelijkheid rond de contractvoorwaarden is echter wel een belangrijk nadeel van dit mechanisme.

Het probleem van toegang tot innovatieve behandelingen is nauw verbonden met de mogelijkheid van de overheid om in de kosten tegemoet te komen, kosten die kunnen oplopen tot honderdduizenden euro's per patiënt.

Het lijkt er dan ook op dat deze kwestie niet op nationaal niveau kan worden opgelost. Het is dan ook absoluut noodzakelijk om de materie op supranationaal niveau te behandelen. Dit moet of op EU-niveau of zelfs op wereldniveau gebeuren.

Innovatie op deze schaal is nodig om de kosten voor innovatieve geneesmiddelen en zorg voor patiënten met zeldzame ziekten te kunnen dragen.

We moeten het systeem dus veranderen. Het gaat hierbij over fundamentele veranderingen in onderzoek, partnerschappen tussen de overheid, universiteiten en de industrie, het verantwoorden van prijzen, en transparantie. Een enorme uitdaging.

AANBEVELINGEN

- (16) Als de expertisecentra eenmaal zijn opgericht is het college weesgeneesmiddelen niet langer vereist
- (17) Zorgverleners moeten geïnformeerd worden over de mogelijkheden om hun patiënten toegang te geven tot innovatieve geneesmiddelen, en dan vooral het Bijzonder Solidariteitsfonds van het RIZIV.
- (18) België moet eisen dat de EU-commissie een agentschap opricht dat de tegemoetkomingen in de lidstaten evalueert voor behandelingen die door EMA zijn goedgekeurd.
- (19) De terugbetaling van weesgeneesmiddelen dient gebaseerd te zijn op therapeutische resultaten.