

CHAMBRE DES REPRÉSENTANTS
DE BELGIQUE

26 avril 2022

PROPOSITION DE RÉOLUTION

**relative aux maladies rares et aux
médicaments orphelins**

AMENDEMENTS

Voir:

Doc 55 **1750/ (2020/2021)**:
001: Proposition de résolution.
002 et 003: Amendements.

BELGISCHE KAMER VAN
VOLKSVERTEGENWOORDIGERS

26 april 2022

VOORSTEL VAN RESOLUTIE

**betreffende de zeldzame ziekten
en weesgeneesmiddelen**

AMENDEMENTEN

Zie:

Doc 55 **1750/ (2020/2021)**:
001: Voorstel van resolutie.
002 en 003: Amendementen.

06820

N° 21 DE MME **MERCKX**

Considérant M (*nouveau*)

Insérer un considérant M, rédigé comme suit:

“M. vu le prix élevé régulièrement réclamé par les producteurs pour les médicaments orphelins en raison de la méthode de fixation du prix basé sur la valeur thérapeutique, ce qui met une pression énorme sur la sécurité sociale;”

JUSTIFICATION

L'industrie pharmaceutique a abandonné l'idée d'une tarification basée sur les coûts, où le prix demandé est déterminé en fonction des coûts de développement et de production du produit. En lieu et place, le secteur recourt désormais régulièrement à la méthode de la tarification basée sur la valeur thérapeutique. Cette méthode consiste à calculer le "coût de la maladie", puis à adopter un prix de vente légèrement inférieur au prétendu "coût de la maladie". C'est ainsi que l'industrie justifie des prix de vente extrêmement élevés. Ce prix est régulièrement inabordable pour le patient et son entourage. Lorsque ces médicaments sont remboursés par la sécurité sociale, cela met une pression énorme sur la sécurité sociale.

Sofie MERCKX (PVDA-PTB)

N° 21 VAN MEVROUW **MERCKX**

Considerans M (*nieuw*)

Een considerans M invoegen, luidende:

“M. gelet op de hoge prijs die producenten regelmatig vragen voor weesgeneesmiddelen omwille van het prijsstellingsmethode van “value-based pricing”, wat een enorme druk zet op de sociale zekerheid;”

VERANTWOORDING

De farmaceutische industrie is afgestapt van het idee van “cost-based pricing” waarbij de vraagprijs wordt bepaald in verhouding tot de ontwikkelings- en productiekosten van het product. In plaats daarvan hanteert de industrie regelmatig de methode van “value-based pricing”. Bij deze methode wordt de “cost of illness” berekend. Vervolgens wordt een vraagprijs aangenomen die net iets lager is dan de vermeende “cost of illness”. Zo rechtvaardigt de industrie bijzonder hoge vraagprijzen. Deze vraagprijs is regelmatig onbetaalbaar voor de patiënt en diens omgeving. Wanneer deze geneesmiddelen worden terugbetaald door de sociale zekerheid, zet dit een enorme druk op de sociale zekerheid.

N° 22 DE MME MERCKX

Considérant N (*nouveau*)

Insérer un considérant M, rédigé comme suit:

“N. vu les différents cas d’abus de la législation relative aux médicaments orphelins caractérisés par l’octroi d’une exclusivité commerciale et la très forte augmentation du prix qui s’ensuit;”

JUSTIFICATION

La législation sur les médicaments orphelins a déjà été détournée à de nombreuses reprises. L’ACDC et le Remdesivir en sont deux exemples.

Le médicament ACDC a été développé dès les années 1970. À partir des années 1990, ce médicament a été prescrit hors RCP pour les patients atteints de XCT. En 2008, Leadiant a acquis les droits du médicament. Cette société a fait enregistrer l’ACDC comme médicament orphelin pour le XCT. Elle a ensuite obtenu un monopole de dix ans sur le marché européen et le prix du médicament a été multiplié par cinq cents.

En 2020, Gilead a développé le Remdesivir, un médicament antiviral utilisé contre le COVID-19. La FDA américaine a désigné le Remdesivir comme un médicament orphelin, ce qui implique une exclusivité commerciale de sept ans aux États-Unis, bien que le COVID-19 ne soit pas une maladie orpheline. Finalement, Gilead a fait marche arrière devant l’indignation générale et a abandonné son projet de classer le Remdesivir dans la catégorie des médicaments orphelins.

Sofie MERCKX (PVDA-PTB)

N° 22 VAN MEVROUW MERCKX

Considerans N (*nieuw*)

Een considerans N invoegen, luidende:

“N. gelet op de verschillende gevallen van misbruik van de wetgeving rond weesgeneesmiddelen waarbij marktexclusiviteit werd verworven en de prijs vervolgens zeer sterk stijgt;”

VERANTWOORDING

De wetgeving rond weesgeneesmiddelen werd reeds meermaals misbruikt. Twee voorbeelden zijn CDCA en Remdesivir.

Het geneesmiddel CDCA werd reeds in de jaren zeventig ontwikkeld. Vanaf de jaren negentig werd deze medicatie “off-label” gebruikt voor CTX-patiënten. In 2008 verwierf Leadiant de rechten op het middel. Het liet CDCA registeren als een weesgeneesmiddel voor CTX. Daarop verwierf het bedrijf een monopolie voor 10 jaar op de Europese markt en werd de prijs vijfhonderd maal hoger.

In 2020 ontwikkelde Gilead Remdesivir, een antiviraal middel dat wordt gebruikt tegen COVID-19. Het Amerikaanse FDA noemde Remdesivir een weesgeneesmiddel, wat in de VS zeven jaar marktexclusiviteit met zich meebrengt, ondanks dat COVID-19 geen weesziekte is. Uiteindelijk plooidde Gilead onder de publieke verontwaardiging en zag het af van de plannen om remdesivir te categoriseren als weesgeneesmiddel.

N° 23 DE MME MERCKX

Considérant O (*nouveau*)

Insérer un considérant O rédigé comme suit:

“O. vu la conclusion quasi systématique de contrats secrets pour les médicaments orphelins entre le ministre et l’industrie pharmaceutique, ce qui entraîne un manque de transparence dans l’utilisation des fonds publics et l’impossibilité d’évaluer le rapport coût-efficacité des médicaments;”

JUSTIFICATION

L’instauration d’un système de remboursement temporaire au moyen de contrats secrets (article 81/111, également connu sous le nom de “*managed entry agreement*”) conclus entre le ministre et l’industrie pharmaceutique avait au départ vocation à rester une mesure exceptionnelle réservée à des cas spécifiques. En 2014, 5,58 % des dépenses brutes de notre budget des médicaments concernaient des médicaments relevant d’un contrat secret. Cette part est passée à 29,8 % en 2019 et elle ne cesse d’augmenter.¹ Elle a même atteint 61 % du budget en 2019 pour ce qui est des médicaments délivrés par la pharmacie hospitalière à des patients ambulatoires.² Le recours actuel à des contrats confidentiels entre le ministre et l’industrie va donc bien au-delà de ce qui était prévu initialement. Le caractère secret de ces contrats empêche une analyse coût-efficacité approfondie, ce qui est pourtant essentiel pour pouvoir apprécier s’il y a lieu ou non de rembourser un médicament.³

Sofie MERCKX (PVDA-PTB)

¹ https://www.inami.fgov.be/SiteCollectionDocuments/Rapport_MORSE_%20donnees_%20jusque_2019.pdf.

² https://www.mc.be/media/21_0654_studiedienst_magazine_A4_FR_CM-info285_M%C3%A9dicaments_tcm49-71604.pdf.

³ https://kce.fgov.be/sites/default/files/2021-11/KCE_343A_Meerwaarde_innovatieve_geneesmiddelen_tegen_kanker_Synthese.pdf.

N° 23 VAN MEVROUW MERCKX

Considerans O (*nieuw*)

Een considerans O invoegen, luidende:

“O. gelet op het bijna systematisch aangaan van geheime contracten voor weesgeneesmiddelen tussen de minister en de farmaceutische industrie wat leidt tot een gebrek aan transparantie over de besteding van publieke middelen en een onvermogen om de kosteneffectiviteit van geneesmiddelen te beoordelen;”

VERANTWOORDING

Toen het systeem van de tijdelijke terugbetaling door middel van geheime contracten (artikel 81/111, ook gekend als “*managed entry agreement*”) tussen de minister en de farmaceutische industrie werd ingevoerd, was dit bedoeld als uitzonderlijke maatregel voor specifieke gevallen. In 2014 ging 5,58 % van de bruto-uitgaven van ons geneesmiddelenbudget naar de geneesmiddelen die onder geheim contract vielen. In 2019 ging het reeds over 29,8 % van het geneesmiddelenbudget en dit aandeel stijgt enkel verder.¹ Voor geneesmiddelen die worden afgeleverd door de ziekenhuisapotheker aan ambulante patiënten ging het in 2019 zelfs over 61 % van het budget.² Het huidige gebruik van de vertrouwelijke contracten tussen de minister en de industrie gaat dus ver voorbij de initieel bedoelde reikwijdte. Het geheim karakter van de contracten tussen de minister en de producten verhinderen een gedegen kosteneffectiviteitsanalyse, wat nochtans essentieel is in de beslissing een geneesmiddel al dan niet terug te betalen.³

¹ https://www.inami.fgov.be/SiteCollectionDocuments/MORSE_%20apport_gegevens_tot_2019.pdf.

² https://www.cm.be/media/Dure_%20geneesmiddelen_%20volledige_%20studie_tcm47-71738.pdf.

³ https://kce.fgov.be/sites/default/files/2021-11/KCE_343A_Meerwaarde_innovatieve_geneesmiddelen_tegen_kanker_Synthese.pdf.

N° 24 DE MME MERCKX

Considérant P (*nouveau*)

Insérer un considérant P rédigé comme suit:

“P. vu les difficultés rencontrées par les patients pour faire reconnaître leur maladie orpheline par un médecin-conseil de la mutualité qui fait preuve de compréhension;”

JUSTIFICATION

Dans l’avis sur la proposition de résolution relative aux maladies rares et aux médicaments orphelins (DOC 55 1750/001), la LUSS a indiqué que les patients sont régulièrement confrontés à des difficultés pour être reconnus comme patients atteints d’une maladie orpheline. Les médecins-conseil des mutualités ne disposent souvent que de connaissances limitées en matière de maladies orphelines et il ne suivent pas suffisamment les avis des médecins spécialisés. Des patients signalent que des décisions prises par les médecins-conseil des mutualités sont parfois ressenties comme étant arbitraires et que les maladies concernées ne sont parfois pas suffisamment prises au sérieux. Ils indiquent également qu’ils se heurtent à de l’incompréhension et sont parfois considérés comme des profiteurs.

Sofie MERCKX (PVDA-PTB)

N° 24 VAN MEVROUW MERCKX

Considerans P (*nieuw*)

Een considerans P invoegen, luidende:

“P. gelet op de moeilijkheden die patiënten ervaren om bij de adviserende geneesheer van de ziekenfonds op een begripvolle wijze erkenning te krijgen voor hun weesziekte;”

VERANTWOORDING

In het advies op het voorstel van resolutie betreffende de zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen (DOC 55 1750/001) zegt het LUSS dat patiënten regelmatig moeilijkheden ondervinden om te worden erkend als een patiënt die lijdt aan een weesziekte. De adviserende geneesheren van de ziekenfondsen hebben vaak slechts een beperkte kennis over zeldzame ziektes en ze volgen de adviezen van de gespecialiseerde artsen onvoldoende op. Patiënten melden dat beslissingen van de adviserende geneesheren van de ziekenfondsen soms arbitrair aanvoelen en dat de betreffende ziektes soms onvoldoende serieus worden genomen. Ze melden ook dat ze stuiten op onbegrip en soms worden beschouwd als profiteurs.

N° 25 DE MME MERCKX

Demande 10 (*nouvelle*)**Insérer une demande 10 rédigée comme suit:**

“10. d’insister, au niveau européen, pour revoir la réglementation relative aux médicaments orphelins afin de pouvoir lever l’exclusivité de marché de dix ans lorsqu’il s’avère qu’un médicament est clairement devenu rentable;”

JUSTIFICATION

L’Union européenne a pris plusieurs mesures visant à encourager la recherche et le développement en matière de médicaments orphelins. Dans ce cadre, un médicament orphelin bénéficie d’une exclusivité de marché pour une période de 10 ans qui empêche de faire concurrence à ce produit pendant cette période. Le KCE plaide toutefois en faveur de la possibilité de revoir cette exclusivité de marché lorsqu’il s’avère qu’un médicament est devenu rentable après un certain laps de temps.⁴ Cette révision permettra de faire baisser plus rapidement le prix du médicament concerné.

Sofie MERCKX (PVDA-PTB)

⁴ <https://www.kce.fgov.be/sites/default/files/2021-11/d20091027331.pdf>.

Nr. 25 VAN MEVROUW MERCKX

Verzoek 10 (*nieuw*)**Een verzoek 10 invoegen, luidende:**

“10. om op Europees niveau ertoe aan te dringen om de regelgeving over weesgeneesmiddelen te herzien zodat de marktexclusiviteit van tien jaar op weesgeneesmiddelen kan worden ingetrokken indien een product duidelijk winstgevend blijkt te zijn;”

VERANTWOORDING

Om onderzoek naar en ontwikkeling van weesgeneesmiddelen te stimuleren nam de EU een aantal maatregelen. Zo krijgt een weesgeneesmiddel tien jaar marktexclusiviteit, waardoor er tijdens die periode voor dit product geen concurrentie mogelijk is. Het KCE pleit echter voor de mogelijkheid om deze marktexclusiviteit van 10 jaar te kunnen herzien wanneer na een bepaalde tijd blijkt dat het geneesmiddel duidelijk winstgevend is.⁴ Met deze herziening kan de prijs van het betreffende geneesmiddel sneller dalen.

⁴ <https://www.kce.fgov.be/sites/default/files/2021-11/d20091027330.pdf>.

N° 26 DE MME MERCKX

Demande 11 (*nouvelle*)**Insérer une demande 11 rédigée comme suit:**

“11. de financer sur fonds publics des études cliniques sur les médicaments contre les maladies rares pour répondre ainsi aux besoins non rencontrés des patients, étant entendu que les résultats de ces études cliniques resteront du domaine public;”

JUSTIFICATION

Dans son avis sur la proposition de résolution relative aux maladies rares et aux médicaments orphelins (DOC 55 1750/001), Test-Achats indique que le modèle actuel de développement des médicaments ne permet pas de répondre de manière satisfaisante aux besoins des patients. Les médicaments ne sont développés que lorsque le fabricant est en mesure de les commercialiser et d'en tirer suffisamment de profits. Or, le développement des médicaments nécessite des investissements considérables dès lors que les médicaments doivent faire l'objet de plusieurs études cliniques onéreuses. C'est pourquoi les fabricants renoncent à développer certains médicaments lorsqu'ils ne disposent pas de garanties suffisantes que ces médicaments seront lucratifs, ce qui a pour conséquence que les besoins des patients ne sont alors pas rencontrés. Le développement de médicaments n'est pas suffisamment dicté par les besoins des patients et de la société. Pour y remédier, les pouvoirs publics devraient prendre l'initiative de financer sur fonds publics des études cliniques sur les médicaments visant à traiter des maladies rares. Si ces études sont financées sur fonds publics, leurs résultats devront également appartenir au domaine public. Pour l'élaboration de ces initiatives, le gouvernement pourrait s'inspirer de l'étude publiée par le KCE en 2016 dans laquelle le KCE élabore quatre scénarios futurs pour le développement de médicaments en fonction des besoins des patients⁵ (proposition de résolution relative aux maladies rares et aux médicaments orphelins (DOC 55 1750/001).

Sofie MERCKX (PVDA-PTB)

⁵ https://kce.fgov.be/sites/default/files/2021-11/drugpricing_FR_D30-06.pdf.

Nr. 26 VAN MEVROUW MERCKX

Verzoek 11 (*nieuw*)**Een verzoek 11 invoegen, luidende:**

“11. om klinische studies met betrekking tot geneesmiddelen voor zeldzame aandoeningen publiek te financieren om zo de onvervulde noden van de patiënten te bevredigen; de onderzoeksresultaten van deze klinische studies blijven publiek bezit;”

VERANTWOORDING

Volgens het advies van Test Aankoop over het voorstel van resolutie betreffende de zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen (DOC 55 1750/001) is “het huidige model van ontwikkeling van geneesmiddelen niet geschikt om op een bevredigende manier te voldoen aan de noden van de patiënten”. Geneesmiddelen worden enkel ontwikkeld indien de producent in staat is het middel op de markt te brengen en voldoende winst te maken. Het ontwikkelen van geneesmiddelen vergt een grote investering omdat het middel meerdere dure klinische studies moet doorlopen. Daardoor zien de producenten er van af geneesmiddelen te ontwikkelen indien ze onvoldoende garantie hebben dat het geneesmiddel winstgevend zal zijn. Zo blijven de noden van de patiënten in deze gevallen onbevredigd. De ontwikkeling van geneesmiddelen is onvoldoende gestuurd door de noden van de patiënten en de samenleving. Om aan dit probleem tegemoet te komen moet vanuit de overheid initiatief worden genomen om klinische studies met betrekking tot geneesmiddelen voor zeldzame aandoeningen publiek te financieren. Als de studies worden gefinancierd met publieke middelen, moet het eigendom van de onderzoeksresultaten eveneens openbaar zijn. Bij het uitwerken van deze initiatieven kan de regering zich laten leiden door de KCE-studie uit 2016 waarbij vier toekomstscenario's worden uitgewerkt voor de ontwikkeling van geneesmiddelen in verhouding tot de noden van de patiënten⁵ (voorstel van resolutie betreffende de zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen (DOC 55 1750/001).

⁵ https://kce.fgov.be/sites/default/files/2021-11/drugpricing_NL_D30-06.pdf.

N° 27 DE MME **MERCKX**Demande 12 (*nouvelle*)**Insérer une demande 12 rédigée comme suit:**

“12. d’envisager de passer des marchés publics pour le développement de médicaments afin de répondre ainsi aux besoins de santé publique;”

JUSTIFICATION

Voir l’amendement n° 26 précédent.

Sofie MERCKX (PVDA-PTB)

Nr. 27 VAN MEVROUW **MERCKX**Verzoek 12 (*nieuw*)**Een verzoek 12 invoegen, luidende:**

“12. om te overwegen om openbare aanbestedingen uit te schrijven voor de ontwikkeling van geneesmiddelen om zo te voldoen aan behoeften van volksgezondheid;”

VERANTWOORDING

Zie vorig amendement nr. 26.

N° 28 DE MME **MERCKX**Demande 13 (*nouvelle*)**Insérer une demande 13 rédigée comme suit:**

“13. de prendre des mesures contraignantes à l’égard des producteurs afin qu’ils apportent toute la transparence sur les coûts réels de recherche et de développement des médicaments;”

JUSTIFICATION

L’industrie pharmaceutique utilise régulièrement la méthode de fixation des prix basée sur la valeur thérapeutique (*“Value-Based Pricing”*). Le coût de la maladie (*“cost of illness”*) est calculé selon cette méthode. Un prix demandé légèrement inférieur au coût présumé de la maladie est ensuite adopté. L’industrie justifie ainsi des prix demandés particulièrement élevés. Ces prix demandés élevés exercent une pression considérable sur la sécurité sociale. Les autorités ne peuvent pas suivre la logique du prix basé sur la valeur thérapeutique. Dans la convention relative au remboursement d’un médicament, il faut se baser sur les coûts de recherche et de développement pour fixer le prix demandé. En obtenant toute la transparence au sujet des coûts précités, il sera possible de convenir d’un prix équitable.

Sofie MERCKX (PVDA-PTB)

Nr. 28 VAN MEVROUW **MERCKX**Verzoek 13 (*nieuw*)**Een verzoek 13 invoegen, luidende:**

“13. om dwingende maatregelen te nemen ten opzichte van de producenten opdat zij transparantie verschaffen over reële onderzoeks- en ontwikkelingskosten van geneesmiddelen;”

VERANTWOORDING

De farmaceutische industrie hanteert regelmatig de *“value-based pricing”* prijsstellingsmethode. Bij deze methode wordt de *“cost of illness”* berekend. Vervolgens wordt een vraagprijs aangenomen die net iets lager is dan de vermeende *“cost of illness”*. Zo rechtvaardigt de industrie bijzonder hoge vraagprijzen. Deze hoge vraagprijzen zetten een grote druk op de sociale zekerheid. De overheid mag niet meegaan in met de redenering van de *“value-based pricing”*. In de overeenkomst over de terugbetaling van een geneesmiddel moet worden vertrokken van de ontwikkelings- en productiekosten om de vraagprijs te bepalen. Door inzicht te verwerven in de onderzoeks- en ontwikkelingskosten kan een eerlijke prijs overeen worden gekomen.

N° 29 DE MMES **DEPOORTER, GIJBELS ET VAN CAMP**

Demande 13 (*nouvelle*)

Insérer une demande 13 rédigée comme suit:

“13. de faciliter l’organisation d’une “Concertation Pluridisciplinaire Maladie Rare” (CPMR) pour tout(e) patient(e) qui peut en tirer profit, par analogie avec la Concertation pluridisciplinaire en cancérologie (CPC);”

JUSTIFICATION

Il s’agit d’un ajout qui fait suite à un avis de la Fondation Roi Baudouin.

Nr. 29 VAN DE DAMES **DEPOORTER, GIJBELS EN VAN CAMP**

Verzoek 13 (*nieuw*)

Een verzoek 13 invoegen, luidende:

“13. de organisatie van een “Multidisciplinair Overleg Zeldzame Ziekte” (MOZZ) te faciliteren voor patiënten die hier baat bij hebben, naar analogie met het Multidisciplinair Oncologisch Consult (MOC);”

VERANTWOORDING

Het betreft een aanvulling naar aanleiding van een advies van de Koning Boudewijnstichting.

Kathleen DEPOORTER (N-VA)
Frieda GIJBELS (N-VA)
Yoleen VAN CAMP (N-VA)

N° 30 DE MMES **DEPOORTER, GIJBELS ET VAN CAMP**

Demande 14 (*nouvelle*)

Insérer une demande 14 rédigée comme suit:

“14. de créer une plateforme d’information nationale validée pour les personnes souffrant d’une maladie rare. Cette plateforme doit être aisément accessible et fournir des informations tant aux dispensateurs de soins qu’aux patients et aux familles;”

JUSTIFICATION

Il s’agit d’un ajout qui fait suite à un avis de la Fondation Roi Baudouin.

Nr. 30 VAN DE DAMES **DEPOORTER, GIJBELS EN VAN CAMP**

Verzoek 14 (*nieuw*)

Een verzoek 14 invoegen, luidende:

“14. een gevalideerd nationaal informatieplatform voor mensen met een zeldzame ziekte op te richten; dit platform dient toegankelijk en laagdrempelig te zijn en informatie te verlenen aan zowel zorgverleners als aan patiënten en families;”

VERANTWOORDING

Het betreft een aanvulling naar aanleiding van een advies van de Koning Boudewijnstichting.

Kathleen DEPOORTER (N-VA)
Frieda GIJBELS (N-VA)
Yoleen VAN CAMP (N-VA)