

BELGISCHE KAMER VAN
VOLKSVERTEGENWOORDIGERS

5 december 2007

VOORSTEL VAN RESOLUTIE

**betreffende een actieplan inzake
zeldzame aandoeningen en
weesgeneesmiddelen**

(Ingediend door de dames
Yolande Avontroodt, Katia Della Faille
en de heer Herman De Croo)

CHAMBRE DES REPRÉSENTANTS
DE BELGIQUE

5 décembre 2007

PROPOSITION DE RÉOLUTION

**relative à la mise en oeuvre d'un plan
d'action en ce qui concerne les affections
rares et les médicaments orphelins**

(déposée par Mmes Yolande Avontroodt et
Kathia Della Faille et M. Herman De Croo)

cdH	:	centre démocrate Humaniste	
CD&V–N-VA	:	Christen-Democratisch en Vlaams/Nieuw-Vlaamse Alliantie	
Ecolo-Groen!	:	Ecologistes Confédérés pour l'organisation de luttes originales – Groen	
FN	:	Front National	
LDD	:	Lijst Dedecker	
MR	:	Mouvement Réformateur	
Open Vld	:	Open Vlaamse liberalen en democraten	
PS	:	Parti Socialiste	
sp.a - spirit	:	Socialistische partij anders - sociaal, progressief, internationaal, regionalistisch, integraal-democratisch, toekomstgericht.	
VB	:	Vlaams Belang	
<i>Afkortingen bij de nummering van de publicaties :</i>		<i>Abréviations dans la numérotation des publications :</i>	
DOC 52 0000/000 :	Parlementair document van de 52 ^e zittingsperiode + basisnummer en volgnummer	DOC 52 0000/000 :	Document parlementaire de la 52 ^{ème} législature, suivi du n° de base et du n° consécutif
QRVA :	Schriftelijke Vragen en Antwoorden	QRVA :	Questions et Réponses écrites
CRIV :	Voorlopige versie van het Integraal Verslag (groene kaft)	CRIV :	Version Provisoire du Compte Rendu intégral (couverture verte)
CRABV :	Beknopt Verslag (blauwe kaft)	CRABV :	Compte Rendu Analytique (couverture bleue)
CRIV :	Integraal Verslag, met links het definitieve integraal verslag en rechts het vertaald beknopt verslag van de toespraken (met de bijlagen) (PLEN: witte kaft; COM: zalmkleurige kaft)	CRIV :	Compte Rendu Intégral, avec, à gauche, le compte rendu intégral et, à droite, le compte rendu analytique traduit des interventions (avec les annexes) (PLEN: couverture blanche; COM: couverture saumon)
PLEN :	Plenum	PLEN :	Séance plénière
COM :	Commissievergadering	COM :	Réunion de commission
MOT :	moties tot besluit van interpellaties (beigekleurig papier)	MOT :	Motions déposées en conclusion d'interpellations (papier beige)
<i>Officiële publicaties, uitgegeven door de Kamer van volksvertegenwoordigers</i>		<i>Publications officielles éditées par la Chambre des représentants</i>	
Bestellingen :		Commandes :	
Natieplein 2		Place de la Nation 2	
1008 Brussel		1008 Bruxelles	
Tel. : 02/ 549 81 60		Tél. : 02/ 549 81 60	
Fax : 02/549 82 74		Fax : 02/549 82 74	
www.deKamer.be		www.laChambre.be	
e-mail : publicaties@deKamer.be		e-mail : publications@laChambre.be	

TOELICHTING

Dit voorstel van resolutie is een herwerkte versie van DOC 51 2282/001.

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 wanneer minder dan vijf personen op 10 000 lijdt aan de ziekte.

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 meer dan 7% van de totale EU-bevolking, wat niet betekent dat deze allen behandeling nodig hebben.

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

- dat de klinische symptomen kunnen ontstaan op elk moment van het leven, vanaf zeer jonge leeftijd (in twee gevallen op drie voor de leeftijd van twee jaar) en dat vroegtijdige diagnose en behandeling dus belangrijk kunnen zijn om irreversiebele symptomen te voorkomen;

- langdurige zoektocht naar een correcte diagnosestelling, soms vele jaren en zelfs decennia, en langs verschillende artsen met verschillende specialisaties

- chronische pijn bij één zieke 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.

DÉVELOPPEMENTS

La présente proposition de résolution reprend, moyennant certaines adaptations, le texte de la proposition DOC 51 2282/001.

La Commission européenne définit les maladies rares comme des maladies entraînant une menace pour la vie ou des maladies chroniques dont la prévalence est si faible que leur approche nécessite des efforts particuliers. On parle de maladie rare lorsque moins de cinq personnes sur 10 000 en sont atteintes.

Actuellement, on connaît près de 7 000 maladies rares. Chaque semaine, cinq nouvelles pathologies sont décrites dans le monde, dont 80% sont d'origine génétique. Elles affecteraient entre 6 et 8% de la population mondiale. En Europe, quelque 27 millions de personnes, soit plus de 7% de la population européenne totale, sont concernées, ce qui ne signifie pas que toutes ces personnes ont besoin d'un traitement.

Deux tiers (65 %) des maladies rares sont graves et invalidantes. Ces pathologies présentent les caractéristiques suivantes:

- les symptômes cliniques peuvent apparaître à n'importe quel moment de la vie, à partir d'un âge très jeune (dans deux cas sur trois, avant l'âge de deux ans) et un diagnostic et un traitement précoces peuvent donc revêtir de l'importance pour éviter des symptômes irréversibles;

- l'établissement d'un diagnostic correct prend beaucoup de temps, parfois de nombreuses années et même des décennies, et requiert différents médecins ayant différentes spécialisations;

- une douleur chronique chez un malade sur cinq;

- un handicap moteur, sensoriel ou intellectuel dans la moitié des cas, ce qui se traduit, dans un cas sur trois, par une perte d'autonomie;

- des effets négatifs sur l'espérance de vie dans près de la moitié des cas;

- les affections rares provoquent 35 % des décès avant l'âge d'un an, 10 % des décès entre un et 5 ans et 12% des décès entre 5 et 15 ans.

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 (16% onnodige chirurgie, 33% onaangepaste therapie, 10% onnodige psychologische behandelingen (Bron: *Préscire*, Frankrijk)). 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 reeds lang het belang ingezien van een globale, gecoördineerde aanpak. Weesgeneesmiddelen richten zich per definitie tot een klein aantal patiënten per ziekte. Ze zijn dan ook doorgaans vrij duur en hun ontwikkeling is soms complex en niet altijd evident. Op Europees niveau is daarom een weesgeneesmiddelenbeleid ingesteld ter bevordering van de ontwikkeling van deze geneesmiddelen.

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 verordening biedt steunmaatregelen om de ontwikkeling en commercialisering van weesgeneesmiddelen te bevorderen. Het Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) werd in maart 2000 binnen de EMEA opgericht. Dit is het eerste Europese comité waarin patiënten permanent zijn vertegenwoordigd. In een tijdspanne van iets meer dan zes jaar werden meer dan 600 aanvragen geëvalueerd met als resultaat ongeveer 400 onderzoeksprojecten die een erkenning (*designation*) als weesgeneesmiddel in spe kregen. Vandaag zijn er reeds 34 die zijn omgezet in een product en die registratie kregen met toelating tot vermarkting, geldig in gans de EU.

Voor de periode 1999-2003 werd een actieprogramma opgesteld om alle EU-burgers een hoge graad van bescherming te verstrekken inzake zeldzame ziekten. Er werd een taskforce 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 naar een verbetering van de toegang tot deze informatie. Zeldzame ziekten blijven één van de prioriteiten van het Europees programma Volksgezondheid voor de periode

La plupart des maladies rares sont insuffisamment connues des dispensateurs de soins. Cette méconnaissance peut donner lieu à des diagnostics erronés qui, à leur tour, sont la cause d'une grande souffrance pour le patient et sa famille ainsi que d'un traitement tardif (16% de chirurgies inutiles, 33% de thérapies inadaptées, 10% de traitements psychologiques inutiles (Source: *Prescrire*, France)). En raison du manque d'information, les patients qui souffrent d'une maladie rare ne bénéficient pas toujours des meilleurs soins.

S'il n'est pas (encore) possible de mener une politique spécifique pour chaque maladie rare, une politique globale en matière de maladies rares n'en est pas moins souhaitable. L'Europe a déjà depuis longtemps pris conscience de l'importance d'une approche globale et coordonnée. Les médicaments orphelins sont par définition destinés à un petit nombre de patients par maladie. Ils sont dès lors généralement assez coûteux et leur développement est complexe et pas toujours évident. C'est pourquoi une politique en matière de médicaments orphelins a été mise en place au niveau européen, politique qui vise à promouvoir le développement de ces médicaments.

La directive européenne n° 141/2000 concernant les médicaments orphelins a été adoptée le 16 décembre 1999. Elle a été publiée le 22 janvier 2000 et est entrée en vigueur le 27 avril 2000. Cette directive prévoit des mesures de soutien en vue de promouvoir le développement et la commercialisation de médicaments orphelins. Le Comité des médicaments orphelins (CMO) a été créé au sein de l'AEEM en mars 2000. C'est le premier comité européen au sein duquel les patients ont une représentation permanente. Dans un laps de temps d'un peu plus de six ans, plus de 600 demandes ont été évaluées et quelque 400 projets d'étude ont fait l'objet d'une désignation en tant que futur médicament orphelin. Aujourd'hui, 34 ont déjà été transformés en produits et ont fait l'objet d'un enregistrement assorti d'une autorisation de commercialisation valable dans l'ensemble de l'Union européenne.

Pour la période 1999-2003, un programme d'action a été élaboré en vue d'assurer à tous les citoyens de l'Union européenne un degré élevé de protection contre les maladies rares. Une *Task Force* a été mise sur pied qui est chargée de conseiller la direction générale de la Santé publique de la Commission européenne en ce qui concerne les maladies rares et de créer un forum de discussion et d'échange d'informations.

Le but poursuivi est d'améliorer les connaissances à propos des maladies rares et de faciliter l'accès à ces informations. Les maladies rares demeurent une des priorités du programme européen de santé publique pour la période 2003-2008 (DG Sanco). Il existe de nombreux

2003-2008 (DG Sanco). Er zijn heel wat projecten om de informatieuitwisseling te verbeteren en een coördinatie op Europees niveau te ondersteunen. Dit moet de continuïteit van het werk en grensoverschrijdende samenwerking op het vlak van zeldzame ziekten 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 heeft de Europese verordening onder andere geleid tot de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen. Deze is in 2001 opgericht door de toenmalige minister Borst op basis van advies van de Raad voor Gezondheidsonderzoek. In de stuurgroep zitten artsen, wetenschappers, patiënten, vertegenwoordigers van het College ter Beoordeling van Geneesmiddelen, van het College voor zorgverzekeringen, van de (bio-)farmaceutische industrie en zorgverzekeraars. De stuurgroep is onafhankelijk en onderhoudt nauwe contacten met de nationale overheid, het *Committee of Orphan Medicinal Products* en vele buitenlandse organisaties. De stuurgroep heeft tot taak het stimuleren van de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen en het verbeteren van de situatie van patiënten met een zeldzame ziekte, in het bijzonder het versterken van de informatievoorziening over zeldzame ziekten. Tijdens de eerste fase (2001-2003) heeft de stuurgroep zich met name beziggehouden met het opzetten van een infrastructuur voor informatie en bewustwording, netwerkvorming en aandacht voor de patiënten. Tijdens deze fase waren er nog weinig weesgeneesmiddelen beschikbaar. In de tweede fase (2003-2005) heeft de stuurgroep vooral aandacht besteed aan de kostenaspecten, zorgverzekeringss kwesties en toegankelijkheid van de weesgeneesmiddelen voor patiënten. De derde, huidige fase staat in het teken van innovatie en het stimuleren van translationeel onderzoek, valorisatie en het op kaart zetten van een sterke nationale lijn van weesgeneesmiddelenonderzoek in een Europese context.

In Nederland is discussie geweest over het bevorderen van toegang tot dure geneesmiddelen en weesgeneesmiddelen. De bevoegde minister heeft een apart terugbetalings- en financieringsbeleid goedgekeurd inzake weesgeneesmiddelen die in de acht academische ziekenhuizen worden toegediend. Voor een product dat op deze Beleidsregel Weesgeneesmiddelen is opgenomen wordt 100% door de Nederlandse overheid

projets destinés à améliorer l'échange d'informations et à favoriser la coordination au niveau européen. Ces initiatives doivent assurer la continuité du travail et la coopération transfrontalière en matière de maladies rares. Au cours de la Conférence européenne sur les maladies rares, organisée le 21 juin 2005, M. Fernand Sauer, directeur de la santé publique à la Commission européenne, a déclaré au nom de M. Markos Kyprianou, commissaire en charge de la santé, que le problème des maladies rares resterait une matière prioritaire dans le cadre du programme de santé publique pour la période 2007-2013.

Certains de nos voisins ont déjà développé des initiatives en la matière. Aux Pays-Bas, la directive européenne a notamment débouché sur la création du Stuurgroep Weesgeneesmiddelen. Celui-ci a été créé en 2001 par le ministre de l'époque, M. Borst, sur la base d'un avis du *Raad voor Gezondheidszorg*. Ce *Stuurgroep* est composé de médecins, de scientifiques, de patients, de représentants du *College ter beoordeling van geneesmiddelen*, du *College voor zorgverzekeringen*, de l'industrie (bio)pharmaceutique et des assureurs couvrant les soins de santé. Il est indépendant et entretient des contacts étroits avec l'autorité nationale, le Comité des médicaments orphelins et de nombreuses organisations étrangères. Ce *Stuurgroep* a pour mission de stimuler le développement de médicaments orphelins et d'améliorer la situation de patients atteints d'une maladie rare, et en particulier de renforcer la fourniture d'informations concernant les maladies rares. Au cours de la première phase (2001-2003), le *Stuurgroep* s'est occupé de mettre sur pied une infrastructure en vue de l'information, de la conscientisation, de la constitution de réseaux et d'attention pour les patients. Au cours de cette phase, il n'y avait encore que peu de médicaments orphelins. Au cours de la deuxième phase (2003-2005), le *Stuurgroep* a surtout accordé de l'attention aux aspects liés aux coûts, aux questions touchant à l'assurance soins de santé et à l'accessibilité des médicaments orphelins pour les patients. La troisième phase, qui se déroule actuellement, est placée sous le signe de l'innovation et de l'encouragement de la recherche translationnelle, de la valorisation et de la mise en place d'une ligne nationale forte de recherche en matière de médicaments orphelins dans un contexte européen.

Aux Pays-Bas a eu lieu un débat sur l'amélioration de l'accès aux médicaments coûteux et aux médicaments orphelins. Le ministre compétent a adopté une politique de remboursement et de financement distincte en matière de médicaments orphelins qui sont administrés dans les huit hôpitaux universitaires. Pour un produit qui est repris dans cette *Beleidsregel Weesgeneesmiddelen*, 100% sont recalculés par les autorités néerlandaises si

nagecalculeerd als de uitgaven aan dat weesgeneesmiddel hoger zijn dan de financiële grens van 5% van de gemiddelde geneesmiddeluitgaven van de academische ziekenhuizen. Hiervoor was in 2006 en 2007 24 miljoen euro per jaar beschikbaar, en dit bedrag wordt jaarlijks herzien.

De Franse regering heeft een nationaal plan opgesteld betreffende zeldzame ziekten. 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 en er is meer dan 100 miljoen euro voor uitgetrokken.

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 een beter overzicht te krijgen van de noden, de prevalentie, de gevolgen, en dergelijke. De ziekten zullen worden gerangschikt 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 worden opgenomen in de lijst van chronische ziekten met een afzonderlijke regeling voor terugbetaling en terugbetaling moet mogelijk zijn, zelfs wanneer het geneesmiddel wordt voorgeschreven buiten indicatie. Daarnaast moet er een eenvoudiger terugbetalingsprocedure komen die ook andere elementen in aanmerking neemt zoals reiskosten naar het «*centre of excellence*» en de vorming van zorgverstrekkers. Dit om onterechte weigering tot terugbetaling, vaak gebaseerd op een gebrek aan begrip, te vermijden. Kortom, de regels voor gewone geneesmiddelen kunnen hier niet worden toegepast en daarom moet het systeem worden aangepast zodat er uitzonderingen kunnen worden gemaakt.

les dépenses afférentes à ce médicament orphelin sont supérieures à la limite financière de 5% des dépenses moyennes en matière de médicaments des hôpitaux universitaires. Un budget annuel de 24 millions d'euros était disponible à cet effet en 2006 et en 2007 et ce montant est revu chaque année.

Le gouvernement français a établi un plan national maladies rares. Il s'agit d'un dossier prioritaire pour les autorités françaises: les patients qui souffrent d'une maladie rare doivent jouir des mêmes droits que les autres en matière de diagnostic, de traitement et de structures de soins. Le plan d'action a pris cours en 2005 et s'achèvera en 2008. Un budget de plus de 100 millions d'euros lui est consacré.

Ce plan contient dix recommandations assorties de points d'action concrets qui précisent comment les mettre en pratique. Il indique également le coût lié à chacun de ces points.

Un aperçu de ce plan:

1. La recherche épidémiologique

L'État français souhaite mettre en place, en cinq ans, une politique cohérente en matière d'épidémiologie. C'est l'Institut de veille sanitaire qui est chargé de l'élaboration du système, en concertation avec l'ensemble des groupes concernés, afin de mieux cerner les besoins, la prévalence, les conséquences, etc. Les maladies seront répertoriées en fonction de divers facteurs tels que la mortalité, la morbidité, le handicap, la prévalence et l'incidence de la maladie.

2. La reconnaissance de la spécificité des besoins en matière de remboursement et d'accès à la thérapie

Dans le cas des maladies rares, on ne peut utiliser les listes existantes de produits donnant lieu à un remboursement. Les maladies rares doivent être inscrites sur la liste des maladies chroniques faisant l'objet d'un régime de remboursement distinct et le remboursement doit être prévu même lorsque le médicament est prescrit hors indication. En outre, il convient de mettre au point une procédure de remboursement simplifiée, qui prenne également en compte d'autres éléments tels que les frais de transport vers le centre d'excellence et la formation des dispensateurs de soins; et ce, dans le but d'éviter les refus injustifiés de remboursement, qui résultent souvent d'un manque de compréhension. Bref, les règles applicables aux médicaments ordinaires ne pouvant être appliquées en l'occurrence, il convient d'adapter le système afin de permettre des dérogations.

3. Informatie voor artsen, patiënten en publiek

De informatie moet samengebracht en beschikbaar worden gemaakt. Er moeten ook meer fondsen worden vrijgemaakt voor speciale telefoonlijnen. De informatie moet worden aangepast 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 worden opgenomen in de medische en paramedische opleiding.

5. *Screening* en *testing*

Er moet een *screening* worden georganiseerd en er moeten O&O-fondsen ter beschikking worden gesteld om nieuwe tests te ontwikkelen, om de indicaties van screeningtests 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 worden opgericht. De lijst van deze centra moet wijd worden verspreid 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 verder zetten

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

3. Information destinée aux médecins, aux patients et au public

L'information doit être rassemblée et mise à disposition. Par ailleurs, des fonds supplémentaires doivent être dégagés au profit de lignes téléphoniques spéciales. L'information doit être adaptée au groupe cible. Une formation doit être prévue pour d'autres intéressés, tels que les travailleurs sociaux.

4. Formation des professionnels de la santé afin qu'ils puissent mieux identifier les maladies rares

Les maladies rares doivent être intégrées dans les formations médicales et paramédicales.

5. Organiser le dépistage et l'accès aux tests diagnostiques

Il faut organiser un dépistage et il faut mettre à disposition des fonds R&D afin de développer de nouveaux tests, de valider les indications des tests de dépistage, d'améliorer l'accessibilité à ces tests et à de nouvelles techniques de reproduction et de les rembourser intégralement. L'Europe doit formuler des recommandations en vue d'une politique européenne sur les dépistages.

6. Améliorer l'accès aux soins et la qualité de la prise en charge

Il faut mettre en place des centres de référence multidisciplinaires. Il faut diffuser largement la liste de ces centres, de manière à ce que les patients et les prestataires de soins sachent que ces centres existent. Leur travail doit être coordonné en réseaux. La création de quelque 100 centres de référence est prévue sur une période de 5 ans.

7. Poursuivre l'effort en faveur des médicaments orphelins

Le gouvernement français soutient la directive européenne 141/2000 et veillera scrupuleusement à la préservation de cette directive sur les médicaments orphelins. Il faut pérenniser les mesures de soutien nationales existantes, telles que les exonérations fiscales, le dispositif ATU, qui permet que des médicaments n'ayant pas d'autorisation de mise sur le marché soient malgré tout accessibles aux patients atteints de maladies rares, l'inscription de médicaments orphelins sur la liste des molécules innovantes et coûteuses, etc.

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 worden versterkt. Er moet contact worden gelegd 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 worden gericht naar zeldzame ziekten.

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

De bestaande Franse programma's moeten behouden blijven en verder worden uitgebreid. Op Europees niveau moet er worden gecoördineerd 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 worden uitgetrokken om dit alles te verwezenlijken.

In België worden weesgeneesmiddelen nog eerder stiefmoederlijk behandeld. In onze buurlanden Frankrijk, Duitsland en Nederland en daarnaast in Spanje en Zweden wordt het hoogste aantal weesgeneesmiddelen terugbetaald. België staat helaas niet in dit lijstje. Sinds 1 juli 2007 worden er in ons land 14 weesgeneesmiddelen terugbetaald; in Frankrijk bijvoorbeeld bedraagt dit aantal 30. Bovendien is de procedure om in aanmerking te komen voor terugbetaling niet altijd even eenvoudig en snel.

België kan bij de andere Europese landen aansluiting vinden door middel van een aantal initiatieven die de kennis over zeldzame aandoeningen, de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen en de beschikbaarheid en de toegang ertoe stimuleren.

Een eerste initiatief werd reeds genomen door diverse Belgische gezondheidspartners die in 2006 een Stuurgroep weesgeneesmiddelen hebben opgericht. De Stuurgroep is samengesteld uit vertegenwoordigers van patiënten, artsen, apothekers, overheid, mutualiteiten,

8. Prendre des mesures de soutien en faveur des personnes qui s'occupent des patients

Il faut structurer les liens entre les maisons des personnes handicapées et les centres de référence mentionnés au point 6. Il faut aider les associations de malades dans leur mission de soutien et d'information. Il faut par ailleurs permettre la prise en charge des frais d'hébergement et de transport des personnes qui accompagnent des malades aux centres de référence. Il est aussi essentiel d'organiser une prise en charge de la famille au moment du diagnostic.

9. Promouvoir la recherche sur les maladies rares

Il faut axer davantage le programme hospitalier de recherche sur les maladies rares.

10. Pérenniser et développer les partenariats nationaux et internationaux

Il faut pérenniser et développer les programmes français existants. Il faut développer une coordination au niveau européen dans le domaine des tests diagnostiques (disponibilité et contrôle de qualité), de la labellisation des centres de référence, du financement de la recherche, du développement d'indicateurs de santé publique et de la mutualisation des expériences. Il faut surtout prévoir des fonds supplémentaires afin de réaliser tous ces objectifs.

En Belgique, les médicaments orphelins sont plutôt traités en parents pauvres. Ce sont nos voisins que sont la France, l'Allemagne et les Pays-Bas, ainsi que l'Espagne et la Suède qui remboursent le plus grand nombre de médicaments orphelins. La Belgique ne figure malheureusement pas sur cette liste. Depuis le 1^{er} juillet 2007, 14 médicaments orphelins sont remboursés dans notre pays; en France, par exemple, ce nombre est de 30. La procédure de prise en compte pour le remboursement n'est en outre pas toujours simple et rapide.

La Belgique peut se joindre à d'autres pays européens en prenant une série d'initiatives visant à stimuler les connaissances sur les affections rares, le développement de médicaments orphelins et leur disponibilité et leur accessibilité.

Une première initiative a déjà été prise par divers partenaires de la santé en Belgique, qui ont créé en 2006 un groupe de pilotage. Ce groupe de pilotage est composé de représentants des patients, des médecins, des pharmaciens, des pouvoirs publics, des mutualités,

wetenschappers en de industrie. Op 7 december 2006 organiseerde de stuurgroep het symposium «Weesgeneesmiddelen in België» in het Parlement in Brussel. Hiermee hoopt de Stuurgroep een eerste stap te hebben gezet tot een stimulerend en coherent Belgisch beleid terzake. Teneinde aansluiting te vinden bij de ons omringende landen stelt de Stuurgroep zich tot doel de kennis over zeldzame ziekten, de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen en de beschikbaarheid en toegang ertoe te stimuleren.

Yolande AVONTROODT (Open Vld)
Katia DELLA FAILLE (Open Vld)
Herman DE CROO (Open Vld)

des scientifiques et de l'industrie. Le groupe de pilotage a organisé, au Parlement de Bruxelles, le symposium du 7 décembre intitulé «Les médicaments orphelins en Belgique» en espérant franchir ainsi un premier pas vers l'initiation d'une politique stimulante et cohérente autour de ce problème. En s'alignant sur les pays environnants, le groupe de pilotage se donne pour objectifs de mieux faire connaître les maladies rares, de stimuler la recherche sur les médicaments orphelins et d'améliorer leur disponibilité et leur accessibilité.

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 worden beschreven;

B. overwegende dat zeldzame ziekten vaak onvoldoende zijn gekend door zorgverstrekkers, wat leidt tot een verkeerde diagnose en niet-optimale behandeling;

C. overwegende dat er sinds 1999 op Europees niveau een weesgeneesmiddelenbeleid wordt gevoerd 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;

G. overwegende dat in 2006 in België een ad hoc Stuurgroep Weesgeneesmiddelen in het leven werd geroepen door diverse Belgische gezondheidspartners;

H. overwegende dat biotechnologische geneesmiddelen veelbelovend zijn.

VRAAGT DE FEDERALE REGERING,

1. de Belgische Stuurgroep weesgeneesmiddelen formeel te erkennen en zijn werking te betoelagen;

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 te bevorderen tot weesgeneesmiddelen;

PROPOSITION DE RÉOLUTION

LA CHAMBRE DES REPRÉSENTANTS,

A. considérant que jusqu'à 7% de la population de l'Union européenne souffre d'une maladie rare et qu'en moyenne, cinq nouvelles pathologies sont décrites par semaine;

B. considérant que les maladies rares sont souvent insuffisamment connues des prestataires de soins, cette méconnaissance étant à l'origine d'erreurs de diagnostic et de traitement;

C. considérant que, depuis 1999, l'Europe mène une politique des médicaments orphelins, afin de promouvoir le développement de ces médicaments, et qu'elle appelle les États membres à poursuivre la mise en oeuvre de cette politique;

D. considérant que le problème des affections rares et des médicaments orphelins demeurera une matière prioritaire dans le programme de santé publique européen 2007-2013;

E. considérant que le gouvernement français a établi en 2005 un plan d'action relatif aux maladies rares;

F. considérant que le ministre néerlandais compétent a également préparé un plan visant à promouvoir l'accès aux médicaments orphelins et à créer un groupe pilote sur les médicaments orphelins;

G. considérant qu'en 2006, un groupe de pilotage ad hoc a aussi été créé en Belgique par divers partenaires de la santé belges;

H. considérant que les médicaments biotechnologiques sont très prometteurs;

DEMANDE AU GOUVERNEMENT FÉDÉRAL:

1. de reconnaître formellement le groupe pilote «Médicaments orphelins» et de subventionner son fonctionnement;

2. d'établir, à l'instar de la France, un plan d'action visant à faire mieux connaître les affections rares auprès des prestataires de soins et du grand public, à encourager le développement de médicaments orphelins et à promouvoir l'accès aux médicaments orphelins;

3. een prioriteitenlijst op te stellen van zeldzame aandoeningen waarvoor een nieuwe therapie moet worden ontwikkeld;

4. patiënten en hun verenigingen te betrekken bij het opbouwende denkproces en de besluitvorming omtrent zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen;

5. mechanismen in te stellen en te ondersteunen op nationaal en Europees niveau om informatieuitwisseling inzake zeldzame aandoeningen te verbeteren en te bevorderen.

26 november 2007

Yolande AVONTROODT (Open Vld)
Katia DELLA FAILLE (Open Vld)
Herman DE CROO (Open Vld)

3. d'établir une liste des affections rares pour lesquelles une nouvelle thérapie doit être développée prioritairement;

4. d'associer les patients et leurs associations au processus de réflexion constructif et au processus décisionnel concernant les maladies rares et les médicaments orphelins;

5. de mettre en oeuvre et de soutenir des mécanismes, aux niveaux national et européen, en vue d'améliorer et de promouvoir l'échange d'informations sur les affections rares.

26 novembre 2007