



# Info spot

## **De weesgeneesmiddelen**

### **1. Wat is een weesgeneesmiddel?**

Een weesgeneesmiddel is een vergund geneesmiddel dat gebruikt wordt voor de diagnose, de preventie of de behandeling van een zeldzame dodelijke of zeer ernstige ziekte.

Om het statuut van «weesgeneesmiddel» te genieten, moet een geneesmiddel voldoen aan de criteria die zijn vermeld in de verordening EG nr. 141/2000 van het Europees Parlement en de Raad van 16 december 1999 en moet het meer bepaald bestemd zijn voor de diagnose, de preventie of de behandeling van aandoeningen die in de Europese Gemeenschap niet meer dan 5 personen op 10.000 treffen.

### **2. Terugbetaling van weesgeneesmiddelen.**

Het bedrijf dat verantwoordelijk is voor het in de handel brengen van een weesgeneesmiddel kan op nationaal niveau de inschrijving op de lijst van terugbetaalbare producten vragen. De inschrijvingsprocedure wordt beschreven in hoofdstuk II, onderafdeling 5 van het Koninklijk Besluit van 21 december 2001 tot vaststelling van de procedures, termijnen en voorwaarden inzake de tegemoetkoming van de verplichte verzekering voor geneeskundige verzorging en uitkeringen in de kosten van farmaceutische specialiteiten. De minister van Sociale Zaken kan vervolgens, op basis van het voorstel van de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen, het advies van de Inspecteur van Financiën en het akkoord van de minister van Begroting, beslissen om voor het betrokken geneesmiddel al dan niet een verzekeringstegemoetkoming toe te staan.

Alle weesgeneesmiddelen die in België worden vergoed, zijn ingeschreven in hoofdstuk IV van bijlage 1 van het voornoemde Koninklijk Besluit. Ze worden enkel vergoed na een machtiging door de adviserend geneesheer van de verzekeringsinstelling van de rechthebbende.

Voor de weesgeneesmiddelen die ziekten betreffen die nog zeer weinig bekend zijn en waarvan de kosten vaak zeer hoog zijn, werd er beslist om binnen de Dienst voor Geneeskundige Verzorging van het Riziv een College van geneesheren voor weesgeneesmiddelen op te richten (Koninklijk Besluit van 8 juli 2004 betreffende de vergoeding van weesgeneesmiddelen).

Enkel op verzoek van de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen en als de vergoedingsvoorwaarden het vermelden, wordt een College voor een bepaald geneesmiddel opgericht.

### **3. Taken van het College van geneesheren voor weesgeneesmiddelen.**

Het College heeft de volgende opdrachten:

- a. een advies geven aan de adviserend geneesheer van de verzekeringsinstelling voor zover deze het gevraagd heeft.
- b. punctuele vragen van de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen of het Bijzonder Solidariteitsfonds beantwoorden.
- c. het jaarlijks opstellen van een activiteitenverslag van de verschillende Colleges.
- d. eventuele wijzigingen voorstellen van de bestaande vergoedingsvoorwaarden.
- e. de gegevens voorstellen die moeten worden ingezameld.

#### **4. Samenstelling van het College.**

Het College bestaat uit:

- een voorzitter, benoemd door de Koning,
- 4 geneesheren die gespecialiseerd zijn in de betreffende aandoening. Die deskundigen worden aangeduid door de Minister op voorstel van de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen.
- 4 geneesheren met een mandaat bij een verzekeringsinstelling die tevens lid zijn van de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen. Zij worden eveneens aangeduid door de Minister, maar op voorstel van het Nationaal Intermutualistisch College.

Aangezien de oprichting van een College afhangt van de vergoedingsvoorwaarden van het betrokken weesgeneesmiddel, is er dus een College per vergoedbaar weesgeneesmiddel, maar voor weesgeneesmiddelen die betrekking hebben op dezelfde aandoening of hetzelfde toepassingsgebied, kan de samenstelling van de verschillende Colleges identiek zijn.

#### **5. Werking van de Colleges.**

De aanvragen die bij de verschillende verzekeringsinstellingen worden ingediend door de behandelende geneesheer specialist, worden geanonimiseerd en vervolgens naar het secretariaat van de Colleges gestuurd die ze aan de leden bezorgd.

Het advies van het College (positief, negatief of onder voorbehoud – verschaffen van bijkomende informatie) wordt aan de betrokken verzekeringsinstelling bezorgd.

De adviserend geneesheer van de verzekeringsinstelling neemt de uiteindelijke beslissing met betrekking tot het individuele recht van de rechthebbende op de vergoeding.

#### **6. De Colleges: toestand op 1.7.2007.**

Sinds 2004, datum van inwerkingtreding van het Koninklijk Besluit betreffende de vergoeding van weesgeneesmiddelen, werden er verscheidene Colleges opgericht.

Onderstaande tabel vermeldt alle bestaande Colleges in juni 2007, de indicatie waarvoor het geneesmiddel wordt terugbetaald en de vergoedingsvoorwaarden, de algemene indeling van de betrokken ziekte alsook het aantal patiënten dat in de Colleges wordt geïnventariseerd.

Specialiteiten	Indicatie en vergoedingsvoorwaarden	Indeling	Geraamd aantal patiënten	Kosten/patiënt/jaar (raming)
ALDURAZYME (09/2004)	Mucopolysaccharidose type I – hoofdstuk IV, §3120000	Stofwisselings- ziekten	12	± 300 000 EUR
CARBAGLU (09/2006)	Secundaire hyperammoniëmie als gevolg van een N-acetylglutamaat synthasedeficiëntie – hoofdstuk IV, § 38000100 en 38000200		15-20	± 300 EUR
				± 14 000 à 1 100 000 EUR
FABRAZYME (09/2004)	Ziekte van Fabry – hoofdstuk IV, § 2970000		50-75 (50 %)	± 200 000 EUR
REPLAGAL (09/2004)				± 200 000 EUR
ORFADIN (07/2006)	Erfelijke tyrosinemie type I – hoofdstuk IV, § 3660000		11	Max. ± 100 000 EUR
ZAVESCA (09/2005)	Ziekte van Gaucher type I – hoofdstuk IV, § 3430000		3	± 94 000 EUR
MYOZYME (06/2007)	Ziekte van Pompe – hoofdstuk IV, § 4180000	23	± 176 000 à 411 000 EUR	
TRACLEER (09/2004)	Arteriële pulmonale hypertensie – hoofdstuk IV, § 2990000	Cardiologie – Pneumologie	120 (60 nieuwe gevallen/ jaar)	± 39 000 EUR
REVATIO (06/2007)	Arteriële pulmonale hypertensie - hoofdstuk IV, § 4190000		105	± 6 600 à 26 400 EUR
XAGRID (11/2005)	Essentiële trombocytose – hoofdstuk IV, § 3450000	Hematologie	180-200	± 7 500 EUR
TRISENOX (11/2005)	Acute promyelocyttaire leukemie – hoofdstuk IV, § 3480000		6-16	± 25 000 EUR
DUODOPA (05/2007)	Ziekte van Parkinson – hoofdstuk IV, § 4060000	Neurologie	80	± 47 000 EUR

## 7. De geregistreerde uitgaven voor de weesgeneesmiddelen in 2005 en 2006

De meest recente beschikbare gegevens dekken de jaren 2005-2006.

Sector van aflevering	Specialiteit	ATC code	RIZIV uitgaven 2005	RIZIV uitgaven 2006	Aantal patiënten 2006
Ziekenhuis officina's	ALDURAZYME	A16AB05	1.323.866	-	-
	FABRAZYME	A16AB04	251.491	-	-
	GLIVEC	L01XE01	462.318	-	-
	REPLAGAL	A16AB03	5.046.711	-	-
	SOMAVERT	H01AX01	2.711	-	-
	TRACLEER	C02KX01	3.743.077	-	-
	XAGRID	L01XX35	49.389	-	-
Openbare officina's	GLIVEC	L01XE01	15.094.412	17.900.036	675
	SOMAVERT	H01AX01	654.912	1.081.285	44

De specialiteit met de grootste uitgaven is GLIVEC (oncologie; er bestaat geen College voor die specialiteit). Dat geneesmiddel heeft echter meerdere indicaties en enkel twee van die indicaties worden beschouwd als «weesindicaties». De beschikbare gegevens laten niet toe om de indicatie te kennen waarin het geneesmiddel is voorgeschreven.

Drie geneesmiddelen zijn enzymen die worden gebruikt voor langdurige suppletiebehandelingen (REPLAGAL, ALDURAZYME en FABRAZYME).

De specialiteit TRACLEER behoort tot het cardiovasculaire domein (behandeling van arteriële pulmonale hypertensie).

Het aantal patiënten kan enkel voor de sector van de openbare officina's berekend worden uit de Farmanetgegevens.

De gegevens over de ziekenhuisofficina's in 2006 zijn nog niet beschikbaar.

## **8. Conclusie.**

In Europa alleen al lijden meer dan 25 miljoen mensen aan een of meerdere van de ongeveer 7000 zeldzame ziekten. Voor die weinig bekende ziekten bestaan er zeer weinig behandelingen. Europa, alsook sommige van zijn lidstaten, heeft kennis genomen van die problematiek en heeft daarom een uitgebreid programma gelanceerd om het wetenschappelijk onderzoek en de ontwikkeling van therapeutische middelen voor die invaliderende ziekten te bevorderen. Ondanks deze Europese incentives blijven de prijzen van sommige weesgeneesmiddelen zeer duur, zelfs van moleculen die al tientallen jaren bestaan.

Momenteel zijn bijna 460 producten aangeduid als weesgeneesmiddelen; hiervan werden er in Europa 35 als dusdanig geregistreerd. In België worden 18 weesgeneesmiddelen terugbetaald na wetenschappelijke en financiële evaluatie; voor 12 daarvan werd er een College van geneesheren voor weesgeneesmiddelen opgericht.

Het nut van de colleges is aangetoond omdat ze toelaten :

- de uitgaven te volgen,
- de vergoedingsvoorwaarden te evalueren en eventueel te wijzigen aan de hand van de concrete dossiers,
- een wetenschappelijke en klinische kennis op te bouwen,
- een gemotiveerd voorstel uit te brengen.