

CHAMBRE DES REPRÉSENTANTS
DE BELGIQUE

19 octobre 2021

PROPOSITION DE RÉSOLUTION

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

AMENDEMENTS

Voir:

Doc 55 **1750/ (2020/2021):**

001: Proposition de résolution de Mme Depoorter et consorts.

BELGISCHE KAMER VAN
VOLKSVERTEGENWOORDIGERS

19 oktober 2021

VOORSTEL VAN RESOLUTIE

**betreffende de zeldzame ziekten
en weesgeneesmiddelen**

AMENDEMENTEN

Zie:

Doc 55 **1750/ (2020/2021):**

001: Voorstel van resolutie van mevrouw Depoorter c.s.

05414

N° 1 DE MME DEPOORTER

Considérant K

Remplacer ce considérant par ce qui suit:

“K. constatant que les maladies orphelines ne figurent souvent pas sur la liste exhaustive des diagnostics ouvrant la voie au remboursement des traitements ou des médicaments orphelins, si bien que les patients qui souffrent d’une maladie rare n’ont pas accès au remboursement de ces traitements ou thérapies; et constatant par ailleurs que le remboursement des préparations magistrales orphelines accuse un retard occasionné par la lenteur de la publication des formulations et des monographies validées par la Commission de la Pharmacopée et par l’absence de certaines matières premières orphelines de la liste des matières premières reconnues pour le remboursement de l’INAMI (et que la réglementation de cette institution entrave en général le remboursement des préparations magistrales orphelines);”

JUSTIFICATION

Dans l’Union européenne, une maladie est définie comme orpheline lorsqu’elle touche moins d’une personne sur 2 000. Le concept d’“ultra-orpheline” est proposé pour définir les maladies qui touchent moins d’une personne sur 50 000.¹ Les médicaments servant à soigner les maladies ultra-orphelines appartiennent à la catégorie des médicaments les plus onéreux sur la base du coût par patient.

Il ressort d’une étude de la “European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations” (EFPIA)² que (la rapidité de) l’accessibilité en matière de préparations magistrales et de médicaments (orphelins) laisse gravement à désirer en Belgique, en comparaison avec d’autres pays européens comme l’Allemagne, le Danemark, l’Autriche, l’Italie et la France, notamment en ce qui concerne (la rapidité de) l’accessibilité et du remboursement. Par exemple, l’Allemagne

¹ Schuller, Y., Hollak, C.E.M. & Biegstraaten, M. The quality of economic evaluations of ultra-orphan drugs in Europe – a systematic review. Orphanet J Rare Dis 10, 92 (2015). <https://doi.org/10.1186/s13023-015-0305-y>.

² <https://efpia.eu/media/602652/efpia-patient-wait-indicator-final-250521.pdf>.

Nr. 1 VAN MEVROUW DEPOORTER

Considerans K

Deze considerans vervangen als volgt:

“K. stelt vast dat weesziekten vaak niet op de exhaustieve lijst staan van diagnoses voor de terugbetaling van behandelingen of weesgeneesmiddelen, waardoor patiënten die lijden aan een zeldzame ziekte worden uitgesloten van terugbetaling van deze therapieën of behandelingen; tevens dient te worden vastgesteld dat de terugbetaling van weesmagistralen achterblijft doordat gevalideerde formuleringen en monografieën door de Belgische Farmacopeecommissie achterblijven en doordat niet alle weesgrondstoffen voorkomen op de lijst van erkende grondstoffen voor terugbetaling van het RIZIV (en diens reglementering in het algemeen de terugbetaling van weesmagistralen belemmert);”

VERANTWOORDING

Een weesziekte wordt in de EU gedefinieerd als een aandoening waaraan minder dan 1 op de 2 000 personen lijdt. Het begrip “ultraweess” is voorgesteld voor ziekten met een prevalentie van minder dan 1:50 000.¹ Geneesmiddelen voor ultraweessziekten behoren tot de duurste geneesmiddelen op basis van kosten per patiënt.

Een studie van de “European Federation of Pharmaceutical Industries and Associations” (EFPIA)² toont aan dat de (snelheid van de) toegankelijkheid inzake (wees) magistralen en geneesmiddelen in ons land serieus te wensen overlaat vergeleken met andere Europese landen zoals Duitsland, Denemarken, Oostenrijk, Italië en Frankrijk, met name wat betreft de (snelheid van de) beschikbaarheid en terugbetaalbaarheid. Zo geeft Duitsland onmiddellijke toelating

¹ Schuller, Y., Hollak, C.E.M. & Biegstraaten, M. The quality of economic evaluations of ultra-orphan drugs in Europe – a systematic review. Orphanet J Rare Dis 10, 92 (2015). <https://doi.org/10.1186/s13023-015-0305-y>.

² <https://efpia.eu/media/602652/efpia-patient-wait-indicator-final-250521.pdf>.

accorde l'autorisation de remboursement immédiatement après l'approbation de l'Agence européenne des médicaments (EMA).

Le problème de l'indisponibilité des médicaments (orphelins) pour les maladies orphelines est connu. Outre les médicaments orphelins, il convient également de mentionner explicitement, par analogie, les préparations marginales dites "orphelines", pour éviter la confusion et les malentendus. De la sorte, nous optimisons l'arsenal thérapeutique à la disposition du patient, tant en matière de disponibilité que d'accessibilité financière, tout en garantissant également la liberté thérapeutique du médecin dans le traitement choisi.

Une préparation magistrale est un médicament préparé et délivré à un patient dans une pharmacie sur prescription d'un médecin. Il peut s'agir d'une formule très spécifique, d'une formule préparée selon des indications figurant dans un ouvrage officiel de référence (par exemple, la Pharmacopée belge ou européenne ou le Formulaire Thérapeutique Magistral (FTM), ou une autre Pharmacopée étrangère qui intègre les connaissances scientifiques actuelles) ou dans une monographie approuvée.

La préparation peut être remboursée par l'assurance maladie pour autant qu'elle satisfasse aux conditions et à la réglementation applicables: la matière première doit avoir été autorisée ou disposer d'un certificat d'analyse et elle doit figurer sur la liste des matières premières remboursables. Les pharmaciens (aussi bien pharmaciens hospitaliers que ceux d'officine) doivent pouvoir utiliser les matières premières orphelines pour réaliser des préparations magistrales orphelines.

La réglementation en vigueur, qu'elle provienne de l'AFMPS ou de l'INAMI, ne permet toutefois pas un remboursement rapide des préparations magistrales orphelines.

Avec les préparations magistrales, on peut adapter le dosage et/ou la forme galénique d'un médicament en fonction de la situation du patient. Elles représentent également une alternative quand le dosage ou la forme spécifique d'un médicament n'est pas disponible en tant que spécialité pharmaceutique ou encore quand le patient est allergique à certaines substances. En outre, plusieurs médicaments peuvent être combinés en une seule préparation. Cela peut dans certains cas améliorer l'observance thérapeutique chez les patients polymédiqués. Enfin, certains principes actifs qui sont essentiels pour des thérapies déterminées sont uniquement disponibles comme matières premières et pas en tant que spécialité pharmaceutique.

tot terugbetaling na goedkeuring van de EMA (*European Medicines Agency*).

De onbeschikbaarheid van (wees)geneesmiddelen voor weesziekten is een bekend probleem. Naast de weesgeneesmiddelen dienen naar analogie echter ook de zogenaamde "weesmagistralen" expliciet te worden opgenomen, om verwarring en misverstanden te vermijden. Zo optimaliseren we het therapeutisch arsenaal voor de patiënt, zowel qua beschikbaarheid als financiële toegankelijkheid. De therapeutische vrijheid van de arts in de gekozen behandeling is ook gegarandeerd.

Een magistrale bereiding is een geneesmiddel dat in de apotheek op voorschrift van een arts, voor een patiënt wordt bereid en afgeleverd. Het kan gaan om een zeer specifieke formule, een formule bereid volgens aanwijzingen in een officieel naslagwerk (bijvoorbeeld de Belgische of Europese Farmacopée of het Therapeutisch Magistraal Formularium (TMF), of andere buitenlandse Farmacopée die overeenstemt met de actuele wetenschappelijke kennis) of goedgekeurde monografie.

De bereiding kan worden terugbetaald door de ziekteverzekering op voorwaarde dat hij voldoet aan de geldende voorwaarden en reglementering ter zake: de grondstof is vergund of beschikt over een analysecertificaat en staat op de lijst van terugbetaalbare grondstoffen. Apothekers (zowel ziekenhuis als publiek officina apothekers) moeten de weesgrondstoffen kunnen gebruiken om weesmagistrale bereidingen te maken.

De vigerende reglementering zowel van FAGG als van het Riziv laat ter zake echter na om een vlotte terugbetaling van weesmagistralen mogelijk te maken.

Magistrale bereidingen kunnen de dosering en/of gale-nische vorm van een geneesmiddel afstemmen op de toestand van de patiënt en kunnen een alternatief bieden voor geneesmiddelen waarvoor een vereiste dosering of vorm niet beschikbaar is als farmaceutische specialiteit of wanneer de patiënt allergisch is aan bepaalde bestanddelen. Bovendien kunnen verschillende geneesmiddelen worden gecombineerd in één enkele bereiding, wat in bepaalde gevallen de therapietrouw bij gepolymediceerde patiënten kan bevorderen. Ten slotte zijn een aantal actieve bestanddelen die essentieel zijn bij bepaalde therapieën, enkel beschikbaar als grondstof en gewoonweg niet als farmaceutische specialiteit.

Le “cadre pluriannuel pour les patients”, que les pharmaciens ont signé en 2016 avec la ministre de la Santé publique, mentionne déjà explicitement l'utilisation de préparations magistrales orphelines pour le traitement de maladies orphelines, afin d'accroître l'accessibilité pour ces patients.

La réalisation et la délivrance de préparations magistrales, que ce soit en pharmacie publique ou en pharmacie hospitalière, peut sauver la vie de patients atteints d'une maladie rare. En outre, les préparations magistrales orphelines peuvent offrir une alternative peu (moins) onéreuse à la réutilisation de médicaments (l'application d'un médicament existant à une nouvelle indication) et/ou aux médicaments onéreux.

Si les matières premières n'ont pas été décrites dans la Pharmacopée, le pharmacien d'officine doit s'assurer qu'elles possèdent les caractéristiques et qualités fixées par la monographie introduite par le fournisseur et approuvée par le ministre. Le cas échéant, une monographie pour les matières premières nécessaires doit toutefois être disponible au préalable, afin qu'elles puissent être utilisées pour des préparations magistrales. L'arrêté royal du 19 décembre 1997 relatif au contrôle et à l'analyse des matières premières utilisées par les pharmaciens d'officine prévoit que ces monographies sont rédigées par la Commission belge de Pharmacopée. Une mise à disposition plus rapide, en vue de leur publication dans le FTM, des formules et monographies validées par la Commission belge de Pharmacopée qui sont nécessaires pour toute préparation magistrale orpheline, est dès lors cruciale.

Enfin, il est indispensable, en vue de l'accessibilité pratique et financière pour le patient, qu'outre les pharmacies hospitalières, les pharmacies ouvertes au public puissent également utiliser les matières premières orphelines autorisées pour réaliser et délivrer des préparations magistrales orphelines qui feront également l'objet d'un remboursement.

In het meerjarencader dat de apothekers in 2016 met de minister van Volksgezondheid sloten in het belang van de patiënten, wordt reeds expliciet melding gemaakt van het gebruik van weesmagistralen in de behandeling van weesziekten, om de toegankelijkheid te verhogen voor deze patiënten.

Zowel in de openbare apotheek als in de ziekenhuisapotheek kan het maken en afleveren van magistrale bereidingen een levensreddende behandeling bieden voor patiënten met een zeldzame ziekte. Weesmagistralen kunnen bovendien een goedko(o)p(er) alternatief bieden voor drug rediscovery (de toepassing van een bestaand geneesmiddel bij een nieuwe indicatie) en/of dure medicijnen.

Indien de grondstoffen niet zijn beschreven in de Farmacopees dient de officina-apotheker zich ervan te vergewissen dat ze de kenmerken en kwaliteiten bezitten bepaald door de monografie ingediend en goedgekeurd door de minister. Een monografie voor de nodige grondstoffen moet, in voorkomend geval, echter preliminair beschikbaar zijn opdat ze zouden kunnen verwerkt worden tot magistrale bereidingen. Het koninklijk besluit van 19 december 1997 betreffende de controle en analyse van de grondstoffen die worden gebruikt door de officina-apotheker, schrijft voor dat die monografieën worden opgesteld door de Belgische Farmacopeecommissie. Een spoedige terbeschikkingstelling van de noodzakelijke gevalideerde formuleringen en monografieën voor elke weesmagistrale bereiding door de Belgische Farmacopeecommissie, voor publicatie in het TMF, is dan ook cruciaal in dezen.

Ten slotte is het noodzakelijk dat – met het oog op de toegankelijkheid en laagdrempeligheid voor de patiënt –, naast ziekenhuisapotheken, ook apotheken open voor het publiek de erkende weesgrondstoffen mogen gebruiken en weesmagistralen kunnen bereiden en afleveren en ook worden terugbetaald.

Kathleen DEPOORTER (N-VA)

N° 2 DE MME DEPOORTER

Demande 5

Remplacer cette demande par ce qui suit:

“5. d’élargir l’accès aux médicaments orphelins, aux préparations magistrales orphelines et aux thérapies orphelines pour les maladies rares en renvoyant automatiquement et plus rapidement au Fonds spécial de solidarité; en ce qui concerne les médicaments orphelins et l’accès à certaines thérapies, de faire en sorte qu’un avis étayé du médecin expert traitant puisse réfuter l’utilisation de la liste exhaustive des diagnostics; de rembourser, à certaines conditions, l’utilisation de médicaments hors brevet utilisés pour soigner les maladies rares, et certains traitements (exemple: listes E et F des traitements de kinésithérapie); de favoriser le remboursement des préparations magistrales orphelines, notamment en modifiant la réglementation de l’INAMI; d’accélérer la mise à disposition par la Commission belge de pharmacopée des formulations et monographies validées pour publication dans le FTM pour les préparations magistrales orphelines³; outre les pharmacies hospitalières, les pharmacies ouvertes au public doivent également pouvoir utiliser des matières premières orphelines agréées et réaliser des préparations magistrales orphelines remboursables;”

³ En effet, si aucune pharmacopée ni aucun formulaire officiel n’est disponible à l’étranger non plus, la Pharmacopée (belge) doit résoudre ce problème. Toutefois, compte tenu du temps de traitement considérable à la Commission de pharmacopée, l’idéal serait que cela soit peu fréquent.

Nr. 2 VAN MEVROUW DEPOORTER

Verzoek 5

Dit verzoek vervangen als volgt:

“5. bij zeldzame ziekten de toegankelijkheid van weesgeneesmiddelen, weesmagistralen en therapieën te verruimen door automatisch en sneller door te verwijzen naar het bijzonder solidariteitsfonds; het mogelijk te maken dat voor weesgeneesmiddelen en de toegang tot bepaalde therapieën een onderbouwd advies van de behandelende expert-arts het gebruik van de exhaustieve lijst van diagnoses kan weerleggen; off patent gebruik van geneesmiddelen die worden gebruikt voor zeldzame ziekten en bepaalde behandelingen (bijvoorbeeld de E- en F lijst van kinesietherapeutische behandelingen) terug te betalen onder voorwaarde; de terugbetaling van weesmagistralen te bevorderen, met name door een aanpassing van de RIZIV-reglementering; de terbeschikkingstelling door de Belgische Farmacopeecommissie te bespoedigen van gevalideerde formuleringen en monografieën voor publicatie in het TMF voor weesmagistrale bereidingen;³ naast ziekenhuisapotheken, moeten ook apotheken open voor het publiek in staat worden gesteld om erkende weesgrondstoffen te gebruiken en terugbetaalbare weesmagistralen te realiseren;”

Kathleen DEPOORTER (N-VA)

³ Indien er immers ook in het buitenland geen farmacopee of officieel formularium beschikbaar is, moet de (Belgische) Farmacopee dit oplossen; gelet op de aanzienlijke doorlooptijd bij de farmacopeecommissie, zou dit echter idealiter eerder beperkt moeten blijven.

N° 3 DE MME DEPOORTER

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

“10. de s’efforcer, de toute urgence, de mettre en place une politique d’accès différente, meilleure et plus rapide aux thérapies, aux médicaments orphelins et aux préparations magistrales orphelines, qui permette aux patients belges d’y accéder plus rapidement et plus facilement; concrètement, de développer à cet effet un programme Pay for Performance qui permette l’autorisation et le remboursement rapides et conditionnels des thérapies, des médicaments orphelins et des préparations magistrales orphelines dans notre pays, durant une période d’évaluation, après laquelle le producteur pharmaceutique concerné devra – en fonction des performances du médicament ou de la préparation magistrale/thérapie en question durant cette période – rembourser à l’État une partie, la totalité ou aucune partie des coûts, et qui tienne également compte des normes scientifiques internationales et de l’expérience des patients;”

JUSTIFICATION

En Allemagne et en Écosse, un médicament peut être autorisé et remboursé immédiatement après son approbation par l’EMA. Cette autorisation est cependant basée sur des critères prédéterminés. Après deux ans, le degré de satisfaction aux critères est évalué et le producteur pharmaceutique doit, le cas échéant, rembourser à l’État une partie, la totalité ou aucune partie des coûts, en fonction des performances du médicament durant cette période.

Nr. 3 VAN MEVROUW DEPOORTER

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

“10. dringend onderzoek te doen naar een ander, beter en sneller toegangsbeleid (“access policy”) inzake therapiën, weesgeneesmiddelen en – magistralen waardoor Belgische patiënten er sneller en eenvoudiger toegang tot krijgen; concreet hiervoor een Pay for Performance programma uit te werken dat de snelle en voorwaardelijke toelating en terugbetaling van therapiën, weesgeneesmiddelen en -magistralen in ons land mogelijk maakt met een evaluatieperiode, waarna de betrokken farmaceutische producent desgevallend – naargelang de prestatie van het betrokken geneesmiddel/magistraal/therapie gedurende die periode – een deel, het geheel of niets dient terug te betalen aan de staat en dat tevens rekening houdt met internationale wetenschappelijke standaarden en patiëntenervaringen;”

VERANTWOORDING

In Duitsland en Schotland kan een geneesmiddel onmiddellijk worden toegelaten en terugbetaald na de goedkeuring van het EMA; deze toelating gebeurt dan wel aan de hand van vooraf bepaalde criteria. Na verloop van twee jaar wordt dan bekeken in welke mate aan die criteria werd voldaan, en dient de farmaceutische producent desgevallend – naargelang de prestatie van het betrokken geneesmiddel gedurende die periode – een deel, het geheel of niets terug te betalen aan de staat.

Kathleen DEPOORTER (N-VA)

N° 4 DE MME DEPOORTER

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

“11. d’intégrer structurellement la participation des patients et du public dans le processus de décision concernant la politique relative aux thérapies, aux médicaments orphelins et aux préparations magistrales orphelines, par analogie avec la Patient and public involvement policy (du NICE) et les programmes PACE ayant engrangé de bons résultats au Royaume-Uni;”

JUSTIFICATION

Au Royaume-Uni, le NICE (*National Institute for Health and Care Excellence*)⁴ applique, depuis 1999, une *Patient and public involvement policy* qui recourt à la participation du public et des patients pour élaborer des recommandations, des directives, des avis et des normes de qualité en matière de soins. Il en va de même en ce qui concerne le *Patient and Clinician Engagement process (PACE)*⁵ en Écosse.

Concrètement, ce système s’appuie sur une concertation avec des groupes d’intérêts (non initiés), des (organisations de) patients, des utilisateurs de services, des prestataires de soins et le public (y compris des organisations de bénévoles et des organisations caritatives). Cette façon de procéder contribue à renforcer l’adhésion et à améliorer la qualité, la mise en œuvre, le ciblage et la pertinence de la politique de soins de santé.

⁴ <https://www.nice.org.uk/about/nice-communities/nice-and-the-public/public-involvement/public-involvement-programme/patient-public-involvement-policy>.

⁵ <https://www.scottishmedicines.org.uk/how-we-decide/pace/>.

Nr. 4 VAN MEVROUW DEPOORTER

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

“11. patiënten- en publieksparticipatie structureel mee te nemen in het besluitvormingsproces inzake het therapiën-, weesgeneesmiddelen- en weesmagistralen-beleid, naar het voorbeeld van de succesvolle “Patient and public involvement policy” (van het NICE) en PACE programma’s in het Verenigd Koninkrijk;”

VERANTWOORDING

Het NICE (*National Institute for Health and Care Excellence*)⁴ in het Verenigd Koninkrijk maakt sinds 1999 gebruik van een zogenaamde *“Patient and public involvement policy”*, die participatie van het publiek en patiënten gebruikt voor de ontwikkeling van aanbevelingen, richtlijnen, adviezen en kwaliteitsstandaarden voor de zorg. Hetzelfde geldt voor het *“Patient and Clinician Engagement process” (PACE)*⁵ in Schotland.

Dat gebeurt concreet door de afstemming met (leken) belangenorganisaties, patiënten(organisaties), dienstengebruikers, zorgverstrekkers en het publiek (inclusief vrijwilligersorganisaties en liefdadigheidsorganisaties). Dit draagt bij aan groter draagvlak en een betere kwaliteit, implementatie, focus en relevantie van het gezondheidszorgbeleid.

Kathleen DEPOORTER (N-VA)

⁴ <https://www.nice.org.uk/about/nice-communities/nice-and-the-public/public-involvement/public-involvement-programme/patient-public-involvement-policy>.

⁵ <https://www.scottishmedicines.org.uk/how-we-decide/pace/>.

N° 5 DE MME DEPOORTER

Demande 12 (nouvelle)

Insérer une demande 12 rédigée comme suit:

“12. d’agir avec pragmatisme à l’égard des maladies ultra-orphelines dans le cadre de preuves basées sur l’avis de l’Agence européenne des médicaments (EMA)⁶ et d’élaborer à cet égard une évaluation de technologie de la santé (ETS)⁷ ayant un profil économique rationnel pour les préparations magistrales et les médicaments ultra-orphelins⁸ en s’inspirant notamment d’initiatives telles que le Real World Evidence (RWE) Program et les Real World Data (RWD)⁹.”

⁶ Voir par exemple: https://www.ema.europa.eu/en/documents/presentation/presentation-real-world-evidence-rwe-what-have-we-learned-recently-ema-emas-pcwp-hcpwp-joint-meeting_en.pdf.

<https://www.ema.europa.eu/en/news/advancing-international-collaboration-COVID-19-real-world-evidence-observational-studies>; https://www.ema.europa.eu/en/documents/presentation/presentation-session-1-use-real-world-data-pre-authorisation-what-can-it-answer-peter-mol_en.pdf.

⁷ L'évaluation des technologies de la santé (ETS) comprend l'évaluation systématique des caractéristiques et des effets d'une technologie de la santé, évaluation attentive aux effets directs et visés de cette technologie, ainsi qu'à ses effets indirects et non souhaités. Cette évaluation vise principalement à étayer la prise de décision en ce qui concerne les technologies de la santé.

⁸ Cleemput I, Van Wilder P, Vrijens F, Huybrechts M, Ramaekers D. Recommandations pour les évaluations pharmacoéconomiques en Belgique. *Health Technology Assessment (HTA)*. Bruxelles: Centre fédéral d'expertise des soins de santé (KCE); 2008. KCE Reports 78B (D/2008/10 273/24); <https://kce.fgov.be/sites/default/files/atoms/files/d20081027324.pdf>; Vandenbroeck Ph, Raeymakers P, Wickert R, Becher K, Goossens J, Hulstaert F, Cleemput I, de Heij L, Mertens R. Scénarios futurs pour le développement des médicaments et la fixation de leurs prix. Bruxelles: Centre fédéral d'expertise des soins de santé (KCE), Diemen: Zorginstituut Nederland. 2016. D/2016/10 273/56; https://kce.fgov.be/sites/default/files/atoms/files/drugpricing_FR_D30-06_0.pdf.

⁹ Voir également: Wu J, Wang C, Toh S, Pisa FE, Bauer L. Use of real-world evidence in regulatory decisions for rare diseases in the United States-Current status and future directions. *Pharmacoepidemiol Drug Saf.* 2020 Oct;29(10):1213-1218. doi: 10 1002/pds.4962. Epub 2020 Jan 30. PMID: 32003065.; <https://www.iqvia.com/locations/united-states/blogs/2021/03/rwe-opportunities-in-rare-disease>.

Nr. 5 VAN MEVROUW DEPOORTER

Verzoek 12 (nieuw)

Een verzoek 12 invoegen, luidende:

“12. inzake Ultra Orphan Diseases pragmatisch te handelen in het kader van bewijs gebaseerd op advies van het EMA⁶ en hierbij een Health Technology Assessment (HTA)⁷ met een economisch rationeel profiel voor ultra weesmagistralen en -geneesmiddelen uit te stippelen⁸ dat zich onder meer inspireert op initiatieven zoals het “Real World Evidence (RWE) Program en Real World Data (RWD)⁹.”

Kathleen DEPOORTER (N-VA)

⁶ Zie bijvoorbeeld: https://www.ema.europa.eu/en/documents/presentation/presentation-real-world-evidence-rwe-what-have-we-learned-recently-ema-emas-pcwp-hcpwp-joint-meeting_en.pdf.

<https://www.ema.europa.eu/en/news/advancing-international-collaboration-COVID-19-real-world-evidence-observational-studies>; https://www.ema.europa.eu/en/documents/presentation/presentation-session-1-use-real-world-data-pre-authorisation-what-can-it-answer-peter-mol_en.pdf.

⁷ *Health Technology Assessment (HTA)* houdt de systematische evaluatie in van de eigenschappen en effecten van een gezondheidstechnologie, waarbij aandacht wordt besteed aan de directe en beoogde effecten van deze technologie, alsmede aan de indirecte en onbedoelde gevolgen ervan, en is primair bedoeld om de besluitvorming inzake gezondheidstechnologieën te onderbouwen.

⁸ Cleemput I, Van Wilder P, Vrijens F, Huybrechts M, Ramaekers D. Richtlijnen voor farmacoconomische evaluaties in België. *Health Technology Assessment (HTA)*. Brussel: Federaal Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg (KCE); 2008. KCE Reports 78A (D/2008/10 273/23); <https://kce.fgov.be/sites/default/files/atoms/files/d20081027323.pdf>; Vandenbroeck Ph, Raeymakers P, Wickert R, Becher K, Goossens J, Hulstaert F, Cleemput I, de Heij L, Mertens R. Toekomstscenario's voor de ontwikkeling en prijszetting van geneesmiddelen. Brussel: Federaal Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg, Diemen: Zorginstituut Nederland. 2016. D/2016/10 273/56; https://kce.fgov.be/sites/default/files/atoms/files/drugpricing_NL_D30-06_0.pdf.

⁹ Zie ook: Wu J, Wang C, Toh S, Pisa FE, Bauer L. Use of real-world evidence in regulatory decisions for rare diseases in the United States-Current status and future directions. *Pharmacoepidemiol Drug Saf.* 2020 Oct;29(10):1213-1218. doi: 10 1002/pds.4962. Epub 2020 Jan 30. PMID: 32003065.; <https://www.iqvia.com/locations/united-states/blogs/2021/03/rwe-opportunities-in-rare-disease>.