

BELGISCHE KAMER VAN
VOLKSVERTEGENWOORDIGERS

10 oktober 2024

VOORSTEL VAN RESOLUTIE

**betreffende de zeldzame ziekten
en weesgeneesmiddelen**

(ingediend door
mevrouw Kathleen Depoorter c.s.)

CHAMBRE DES REPRÉSENTANTS
DE BELGIQUE

10 octobre 2024

PROPOSITION DE RÉOLUTION

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

(déposée par
Mme Kathleen Depoorter et consorts)

N-VA	: Nieuw-Vlaamse Alliantie
VB	: Vlaams Belang
MR	: Mouvement Réformateur
PS	: Parti Socialiste
PVDA-PTB	: Partij van de Arbeid van België – Parti du Travail de Belgique
Les Engagés	: Les Engagés
Vooruit	: Vooruit
cd&v	: Christen-Democratisch en Vlaams
Ecolo-Groen	: Ecologistes Confédérés pour l'organisation de luttes originales – Groen
Open Vld	: Open Vlaamse liberalen en democraten
DéFI	: Démocrate Fédéraliste Indépendant

Abréviations dans la numérotation des publications:		Afkorting bij de nummering van de publicaties:	
DOC 56 0000/000	Document de la 56 ^e législature, suivi du numéro de base et numéro de suivi	DOC 56 0000/000	Parlementair document van de 56 ^e zittingsperiode + basisnummer en volgnummer
QRVA	Questions et Réponses écrites	QRVA	Schriftelijke Vragen en Antwoorden
CRIV	Version provisoire du Compte Rendu Intégral	CRIV	Voorlopige versie van het Integraal Verslag
CRABV	Compte Rendu Analytique	CRABV	Beknopt Verslag
CRIV	Compte Rendu Intégral, avec, à gauche, le compte rendu intégral et, à droite, le compte rendu analytique traduit des interventions (avec les annexes)	CRIV	Integraal Verslag, met links het definitieve integraal verslag en rechts het vertaalde beknopt verslag van de toespraken (met de bijlagen)
PLEN	Séance plénière	PLEN	Plenum
COM	Réunion de commission	COM	Commissievergadering
MOT	Motions déposées en conclusion d'interpellations (papier beige)	MOT	Moties tot besluit van interpellaties (beigekleurig papier)

TOELICHTING

DAMES EN HEREN,

Dit voorstel neemt de tekst over van het voorstel DOC 55 1750/001.

Wereldwijd zijn er naar schatting tussen de 5000 en 7000 zeldzame ziekten omschreven. Hoewel deze zeldzame ziekten per definitie niet vaak voorkomen, zorgt de grote diversiteit aan gedefinieerde zeldzame ziekten ervoor dat het om een globaal genomen niet verwaarloosbaar aantal patiënten gaat. Een patiëntengroep die vaak in de kou blijft staan door het ontbreken of het onbetaalbaar blijven van de benodigde weesgeneesmiddelen.

Een weesgeneesmiddel is een farmaceutisch product, gebruikt voor de diagnose, de preventie of de behandeling van een zeldzame ziekte waarvoor er geen preventief middel, diagnostisch middel of geen behandeling bestaat, of – als dat wel het geval is – dat een significant voordeel biedt voor de patiënt.

De aanduiding of omschrijving als “wees” kan worden verkregen bij nationale (FAGG) of Europese instellingen (EMA) die bevoegd zijn voor volksgezondheid en registratie.

Een zeldzame ziekte is een aandoening die levensbedreigend is of een ernstige en/of chronische invaliditeit meebrengt en die niet meer dan 5 personen op 10.000 in de Europese Unie treft.

Zeldzame ziektes zijn aandoeningen waar vaak weinig over is geweten en die heel weinig patiënten treffen. Op medisch vlak vormen ze een nog onbekend terrein, maar vooral voor de farmaceutische sector zijn ze helemaal niet rendabel door een negatieve investerings-rentabiliteitsbalans.

Een weesgeneesmiddel kan pas op de lijst van de vergoedbare farmaceutische specialiteiten komen als:

- de verantwoordelijke firma een aanvraag doet bij de Commissie tegemoetkoming geneesmiddelen (CTG).
- de minister van Sociale Zaken beslist om dit product te vergoeden, op basis van positieve adviezen van de CTG en de Inspecteur van Financiën en het akkoord van de Federale overheidsdienst budget.

Mensen met een zeldzame aandoening hebben al het ongeluk dat ze minder kansen hebben om optimaal

DÉVELOPPEMENTS

MESDAMES, MESSIEURS,

La présente proposition reprend le texte de la proposition DOC 55 1750/001.

On estime qu'entre 5000 et 7000 maladies rares ont été définies dans le monde. Bien que ces maladies rares soient par définition peu fréquentes, la grande diversité des maladies rares définies fait qu'elles concernent un nombre globalement non négligeable de patients. Ce groupe de patients est souvent laissé pour compte parce que les médicaments orphelins nécessaires font défaut ou restent inabordables.

Un médicament orphelin est un produit pharmaceutique destiné au diagnostic, à la prévention ou au traitement d'une maladie rare pour laquelle il n'existe pas de moyen préventif, diagnostique ou de traitement, ou - s'il en existe – qui apporte un bénéfice significatif au patient.

La désignation ou qualification d'“orphelin” peut être obtenue auprès des instances nationale (AFMPS) ou européenne (EMA) compétentes en matière de santé publique et d'enregistrement.

Une maladie rare est une affection entraînant une menace pour la vie ou une invalidité grave et/ou chronique et ne touchant pas plus de 5 personnes sur 10.000 dans l'Union Européenne.

Les maladies rares sont des pathologies très peu connues qui touchent un très faible nombre de patients. Elles constituent un domaine encore méconnu sur le plan médical, mais surtout très peu rentable pour le secteur pharmaceutique en raison d'une balance investissement-rentabilité défavorable.

Un médicament orphelin ne peut être inscrit sur la liste des spécialités pharmaceutiques remboursables que si:

- la firme responsable en fait la demande auprès de la Commission de remboursement des médicaments (CRM);
- le ministre des Affaires sociales décide de rembourser ce produit, sur la base des avis positifs émis par la CRM et l'Inspecteur des Finances et de l'accord du Service public fédéral Budget.

Les personnes atteintes d'une maladie rare ont déjà le malheur d'avoir moins de chances d'être traitées de

behandeld te worden dan mensen die lijden aan een courante aandoening, omwille van een beperktere expertise bij de zorgverleners. We mogen dan ook niet aanvaarden dat er minder inspanningen worden geleverd voor deze patiëntengroep. Inzetten op de ontwikkeling van de nodige weesgeneesmiddelen is dus cruciaal. Ook de toegankelijkheid van deze medicatie moet worden aangepakt. Wanneer er dan toch een geneesmiddel ontwikkeld wordt, of een oplossing gevonden wordt in *off patent* gebruik, dan wordt dit vaak niet terugbetaald. De beperkte markt zorgt er voor dat verschillende weesgeneesmiddelen zeer duur zijn. Zonder terugbetaling zijn deze geneesmiddelen ontoegankelijk voor de patiënt. Het komt eveneens voor dat een geneesmiddel niet terugbetaald wordt in het geval van een zeldzame ziekte, omdat de specifieke diagnose niet terug te vinden is op de exhaustieve lijst die recht geeft op een terugbetaling.

Het KCE koos er in 2008 voor om het onderwerp van naderbij te bestuderen en een rapport op te stellen dat in 2009 gepubliceerd werd. Het rapport diende als aanleiding om in 2013 het Belgisch Plan Zeldzame Ziekten op te stellen. Ook op Europees niveau werd deze problematiek onder de loep genomen. Dit resulteerde in de aanbevelingen van de *European Working Group for Value Assessment and Funding Processes in Rare Diseases* (ORPH-VAL), een samenwerking tussen specialisten zeldzame ziektes, patiëntvertegenwoordigers, academici, vertegenwoordigers van HTA (*Health Technology Assessment*), politici, en vertegenwoordigers van de industrie.

Ondanks de goede intenties, de toegenomen kennis en de voorliggende plannen, is er een gebrek aan concrete actie en blijven de patiënten dezelfde problemen ondervinden. Wij stellen daarom onderstaande prioritaire maatregelen voorop.

Kathleen Depoorter (N-VA)
Frieda Gijbels (N-VA)
Lotte Peeters (N-VA)

manière optimale que les personnes souffrant d'une maladie courante, en raison de l'expertise plus limitée des prestataires de soins. Il est dès lors inacceptable que l'on consente moins d'efforts pour ce groupe de patients. Il est donc crucial de miser sur le développement des médicaments orphelins nécessaires. L'accessibilité de ces médicaments doit également être assurée. Or, lorsqu'on finit malgré tout à développer un médicament ou à trouver une solution dans le cadre d'une utilisation hors brevet, souvent il n'y a pas de remboursement. La taille réduite du marché a pour effet de rendre certains médicaments orphelins très onéreux. Faute de remboursement, ces médicaments sont inabordables pour le patient. Il arrive aussi qu'un médicament ne soit pas remboursé dans le cas d'une maladie rare, parce que le diagnostic spécifique ne se retrouve pas dans la liste exhaustive qui donne droit au remboursement.

Le KCE a décidé en 2008 d'étudier le sujet de plus près et a rédigé un rapport qui a été publié en 2009. Le rapport a servi de base à l'élaboration du Plan belge pour les maladies rares en 2013. La problématique a également été examinée au niveau européen. Cela a débouché sur les recommandations du *European Working Group for Value Assessment and Funding Processes in Rare Diseases* (ORPH-VAL), une collaboration entre des spécialistes des maladies rares, des représentants des patients, des universitaires, des représentants de HTA (*Health Technology Assessment*), des décideurs politiques et des représentants de l'industrie.

Malgré les bonnes intentions, les connaissances accrues et les projets sur la table, il faut déplorer le manque d'action concrète, les patients continuant à rencontrer les mêmes problèmes. C'est pourquoi nous proposons les mesures prioritaires suivantes.

VOORSTEL VAN RESOLUTIE

DE KAMER VAN VOLKSVERTEGENWOORDIGERS,

A. gelet dat ongeveer 500.000 patiënten in ons land lijden aan één of andere zeldzame ziekte;

B. merkt op dat een coherent beleid ten aanzien van zeldzame ziekten, gezien de lage prevalentie en de beperkte kennis en versnipperde expertise, in een niet optimale begeleiding van de patiënten resulteert;

C. refererend naar het KCE rapport nr. 112 A “Beleid voor zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen” uit 2009;¹

D. gelet op het Belgisch Plan Zeldzame ziekten uit 2013 opgesteld door het Fonds voor Zeldzame Ziekten en Weesgeneesmiddelen (Koning Boudewijnstichting);²

E. nota nemend van de aanbeveling betreffende de weesgeneesmiddelen van de Benelux Interparlementaire Assemblee;³

F. verwijzend naar de aanbevelingen van de *European Working Group for Value Assessment and Funding Processes in Rare Diseases* (ORPH-VAL);⁴

G. opmerkend dat de beleidsnota 2021 van minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid Vandenbroucke vooropstelt dat criteria zullen uitgewerkt worden voor de identificatie van expertisecentra, dat zal onderzocht worden hoe de integratie van de Europese Referentienetwerken in de Belgische gezondheidszorg concreet vorm kan krijgen en dat er een analyse zal worden uitgevoerd m.b.t. de realisaties van het Belgische Plan voor Zeldzame Ziekten;

H. stelt vast dat sinds de oprichting van het Belgisch Plan Zeldzame Ziekten (2013) het oprichten en bijhouden van een Centraal Register voor Zeldzame Ziekten een prioriteit is. Echter zijn er op vandaag slechts 3100 unieke patiënten in het register opgenomen;

I. stelt vast dat sinds de oprichting van het Belgisch Plan Zeldzame Ziekten (2013) zeven ziekenhuizen een

¹ <https://kce.fgov.be/nl/leideid-voor-zeldzame-ziekten-en-weesgeneesmiddelen>

² https://www.health.belgium.be/sites/default/files/uploads/fields/fpshealth_theme_file/belgisch_plan_voor_zeldzame_ziekten.pdf

³ <https://www.beneluxparl.eu/wp-content/uploads/2018/07/BNL895-2.pdf>

⁴ <https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-017-0601-9>

PROPOSITION DE RÉSOLUTION

LA CHAMBRE DES REPRÉSENTANTS,

A. considérant qu'environ 500.000 patients dans notre pays souffrent de l'une ou l'autre maladie rare;

B. soulignant qu'une politique cohérente en matière de maladies rares, compte tenu de leur faible prévalence, des connaissances limitées et du morcellement de l'expertise dans ce domaine, se traduit par un accompagnement non optimal des patients;

C. se référant au rapport n° 112A du KCE intitulé “Politiques relatives aux maladies rares et aux médicaments orphelins”, publié en 2009;¹

D. vu le Plan belge pour les maladies rares de 2013, élaboré par le Fonds pour les maladies rares et les médicaments orphelins (Fondation Roi Baudouin);²

E. prenant note de la recommandation de l'Assemblée interparlementaire Benelux concernant les médicaments orphelins;³

F. se référant aux recommandations de l'*European Working Group for Value Assessment and Funding Processes in Rare Diseases* (ORPH-VAL);⁴

G. considérant que la note de politique générale du ministre des Affaires sociales et de la Santé publique, M. Vandenbroucke, pour l'année 2021, indique que des critères seront élaborés en vue d'identifier des centres d'expertise, qu'il sera procédé à une analyse de la manière d'intégrer les Réseaux européens de référence dans les soins de santé en Belgique et qu'une analyse des réalisations du Plan belge pour les Maladies rares sera réalisée;

H. constatant que, depuis l'élaboration du Plan belge pour les maladies rares (2013), la création et la tenue d'un Registre central des maladies rares est une priorité, alors qu'à ce jour, seuls 3100 patients uniques y sont inscrits;

I. constatant que, depuis l'élaboration de ce même plan, sept hôpitaux ont été agréés pour la “fonction

¹ <https://www.kce.fgov.be/fr/publication/report/politiques-relatives-aux-maladies-rares-et-aux-medicaments-orphelins>

² https://rarediseases.sciensano.be/sites/default/files/Plan_belge_maladies_rares_FR.pdf

³ <https://www.beneluxparl.eu/wp-content/uploads/2018/07/BNL895-2.pdf>

⁴ <https://ojrd.biomedcentral.com/articles/10.1186/s13023-017-0601-9>

erkenning kregen als “functie zeldzame ziekten” maar dat er nood is aan een formele erkenning van expertisecentra;

J. nota nemend dat de meeste artsen in de eerste lijnszorg niet echt vertrouwd zijn met de meer dan 6000 zeldzame aandoeningen die vaak multisysteemaandoeningen zijn. Als gevolg daarvan moeten patiënten vaak bij verschillende arts-specialisten aankloppen en mist de patiënt een centrale aansturing;

K. vaststellende dat weesziekten vaak niet op de exhaustieve lijst van diagnoses voor de terugbetaling van behandelingen of weesgeneesmiddelen staan, met als gevolg dat patiënten die lijden aan een zeldzame ziekte uitgesloten worden van terugbetaling van deze therapieën of behandelingen;

L. er op wijzend dat de toepassing van de “significant benefit” in het kader van CU/MN programs een grotere toegankelijkheid van deze programma's voor weesziekten zou kunnen creëren;⁵

VERZOEKT DE REGERING:

1. het centrale register voor zeldzame ziekten uit te voeren. De uitbouw van een Centraal Register voor Zeldzame ziekten staat ingeschreven als een prioritaire actie in het Belgisch Plan Zeldzame Ziekten (2013), maar de implementatie laat op zich wachten. Het voorzien van een wettelijke verplichting tot registratie door de artsen, uitwisseling met andere geregistreerde data en communicatie over het belang van de registratie kunnen de regering helpen in het creëren van een volwaardig register zeldzame ziekten;

2. om werk te maken van een generieke conventie per Europese referentie en aldus internationaal gevalideerde richtlijnen voor weesziekten te implementeren in het Belgische zorglandschap;

3. om een zorgplan op te starten in het kader van de generieke conventie met als centraal ankerpunt een multidisciplinaire aanpak van de zeldzame aandoening na diagnose en de aanstelling van een zorgcoördinator te voorzien. Het zorgplan voorziet in de zorgcoördinatie van de patiënt en legt hierbij nadruk op de behandeling en zorgondersteuning van de patiënt alsook op een goede besteding van de beschikbare middelen. Het zorgplan voorziet in trajectmanagers die als schakel fungeren tussen de patiënt en het multidisciplinaire team dat hem of haar begeleidt;

⁵ <https://www.ema.europa.eu/en/news/demonstrating-significant-benefit-orphan-medicines>

maladies rares”, mais qu’il convient de procéder à la reconnaissance formelle de centres d’expertise;

J. soulignant que la plupart des médecins de première ligne ne connaissent pas vraiment les plus de 6000 maladies rares, qui sont souvent des affections multisystémiques, si bien que les patients doivent souvent s’adresser à différents spécialistes et ne bénéficient ainsi pas d’un suivi centralisé;

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;

L. soulignant que l’application du principe du “bénéfice significatif” dans le cadre des programmes d’usage compassionnel et des programmes médicaux d’urgence pourrait renforcer l’accessibilité de ces programmes pour les maladies orphelines;⁵

DEMANDE AU GOUVERNEMENT:

1. d’établir un registre central des maladies rares, étant entendu que la création d’un registre central des maladies rares est inscrite au titre d’action prioritaire dans le Plan belge pour les maladies rares (2013) mais que ce registre n’a pas encore été créé, et que prévoir une obligation légale d’enregistrement par les médecins, l’échange d’autres données enregistrées et une communication sur l’importance de cet enregistrement pourrait aider le gouvernement à établir un registre des maladies rares de bonne qualité;

2. d’établir une convention générique par référence européenne et d’ainsi mettre en œuvre, dans le paysage des soins de santé belge, des directives internationalement validées pour les maladies orphelines;

3. de mettre en place, dans le cadre de la convention générique, un plan de soins axé sur une approche multidisciplinaire de la maladie rare à la suite du diagnostic et de prévoir la désignation d’un coordinateur de soins. Ce plan de soins prévoira la coordination des soins du patient et mettra l’accent, à cet égard, sur le traitement et sur le soutien du patient, ainsi que sur une bonne affectation des moyens disponibles. Le plan de soins prévoira la désignation de *managers* de trajet qui assureront la liaison entre le patient et l’équipe multidisciplinaire qui l’accompagnera;

⁵ <https://www.ema.europa.eu/en/news/demonstrating-significant-benefit-orphan-medicines>

4. om zoveel mogelijk in te zetten op ambulante zorg ter begeleiding en ondersteuning van de patiënten. Het zorgplan legt de nadruk om maximaal in te zetten op ambulante zorg. Dat leidt tot een hogere levenskwaliteit en welbevinden van de patiënt maar ook tot het efficiënter gebruik van de gezondheidsdiensten;

5. om de toegankelijkheid van weesgeneesmiddelen en therapieën te verruimen in het kader van zeldzame ziekten. De doorverwijzing naar het Bijzonder Solidariteitsfonds zou automatisch moeten gebeuren in het kader van zeldzame ziekten. Ook een versnelde procedure van het Bijzonder Solidariteitsfonds kan van toepassing zijn. Voor wat weesgeneesmiddelen en de toegang tot bepaalde therapieën betreft, zou een onderbouwd advies van de behandelende expert-arts het gebruik van de exhaustieve lijst van diagnoses kunnen weerleggen en zodus ook off patent gebruik van geneesmiddelen die voor zeldzame ziekten gebruikt worden en bepaalde behandelingen (bijvoorbeeld de E- en F-lijst van kinesitherapeutische behandelingen) terug te betalen onder voorwaarde;

6. rekening te houden met de “significant benefit” in het toekennen van programma’s in het kader van *Compassionate Use of Medicinal Need* indien er een terugbetaald alternatief op de markt is;

7. een groeipad uit te stippelen naar de oprichting van referentiecentra per Europese Referentie. Op vandaag zijn 7 ziekenhuizen erkend als “functie zeldzame ziekten”. Deze erkenning zou geformaliseerd moeten worden en zou ook zichtbaar en snel identificeerbaar moeten worden. Deze expertisecentra zouden bovendien gestimuleerd moeten worden om hun kennis te delen met perifere centra en de eerstelijnszorg;

8. in overleg met de deelstaten een maximale kennis- en datadeling in de verschillende Netwerken voor Zeldzame ziekten uit te werken. De samenwerking met relevante patiëntenverenigingen structureel in te bedden bij de uitwerking van overheidsinitiatieven, kan het beleid bovendien coherenter maken;

9. in overleg met de deelstaten te onderzoeken of een bredere neonatale screening van een aantal weesziekten in het belang van de algemene volksgezondheid noodzakelijk is.

25 september 2024

Kathleen Depoorter (N-VA)
Frieda Gijbels (N-VA)
Lotte Peeters (N-VA)

4. de miser au maximum sur les soins ambulatoires pour accompagner et soutenir les patients. Le plan de soins mettra l’accent, au maximum, sur les soins ambulatoires, soins qui améliorent la qualité de vie et le bien-être du patient mais également l’efficacité de l’utilisation des services de santé;

5. d’élargir l’accès aux médicaments orphelins et aux thérapies orphelines pour les maladies rares. Le renvoi au Fonds spécial de solidarité devrait être automatique pour les maladies rares. Une procédure accélérée du Fonds spécial de solidarité pourrait également être prévue. En ce qui concerne les médicaments orphelins et l’accès à certaines thérapies, un avis étayé du médecin expert traitant permettrait de réfuter l’utilisation de la liste exhaustive des diagnostics et ainsi de rembourser également, 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);

6. de tenir compte du “bénéfice significatif” de l’octroi de programmes dans le cadre de l’usage compassionnel (*Compassionate Use of Medicinal Need*) si une alternative remboursée est disponible sur le marché;

7. de définir une trajectoire de croissance en vue de l’établissement de centres de référence par référence européenne. À l’heure actuelle, sept hôpitaux agréés disposent d’une “fonction maladie rare”. Cet agrément devrait être formalisé et également être visible et rapidement identifiable. Ces centres d’expertise devraient en outre être encouragés à partager leurs connaissances avec les centres périphériques et les soins de première ligne;

8. d’élaborer, en concertation avec les entités fédérées, un partage maximal des connaissances et des données dans les différents réseaux des maladies rares, la collaboration structurelle avec les associations pertinentes de patients lors de l’élaboration d’initiatives publiques pouvant en outre renforcer la cohérence de la politique;

9. d’examiner, en concertation avec les entités fédérées, si un dépistage néonatal plus étendu d’une série de maladies orphelines est nécessaire dans l’intérêt de la santé publique en général.

25 septembre 2024