

CHAMBRE DES REPRÉSENTANTS
DE BELGIQUE

4 février 2020

PROPOSITION DE LOI

**modifiant la loi du 25 mars 1964
sur les médicaments en ce qui concerne
les programmes d'usage compassionnel et
les programmes médicaux d'urgence**

(déposée par Mme Kathleen Depoorter)

BELGISCHE KAMER VAN
VOLKSVERTEGENWOORDIGERS

4 februari 2020

WETSVOORSTEL

**tot wijziging van de wet van 25 maart 1964
op de geneesmiddelen wat de programma's
voor gebruik in schrijnende gevallen en
medische noodgevallen betreft**

(ingediend door mevrouw Kathleen Depoorter)

RÉSUMÉ

Cette proposition de loi vise à assouplir les conditions d'utilisation des programmes d'usage compassionnel et des programmes médicaux d'urgence. Aujourd'hui, ces programmes ne peuvent faire l'objet de demandes que s'il n'existe aucune alternative autorisée et commercialisée.

En pratique, les demandes introduites dans le cadre de ces programmes concernent toujours des médicaments innovants et coûteux et il peut arriver qu'il existe une alternative autorisée et commercialisée mais non remboursée. La plupart des patients n'ont toutefois pas les moyens de s'offrir ces médicaments, et attendent dès lors, résignés, l'autorisation demandée. Cette proposition vise par conséquent à modifier les conditions afin qu'une demande puisse être introduite lorsqu'il n'existe pas d'alternative autorisée, commercialisée et remboursée.

SAMENVATTING

Dit wetsvoorstel wil de voorwaarden waaronder de programma's voor gebruik in schrijnende gevallen en de medische noodprogramma's kunnen gebruikt worden, versoepelen. Momenteel kunnen dergelijke programma's enkel aangevraagd worden wanneer er geen alternatief bestaat dat vergund is en in de handel is.

De aanvragen binnen deze programma's handelen in de praktijk steeds om innovatie en dure geneesmiddelen. Het kan dus voorvallen dat er een alternatief bestaat, dat vergund is en in de handel is, maar dat niet terugbetaald wordt. De prijs van dit soort geneesmiddelen kunnen de meeste patiënten niet dragen. Deze patiënten blijven dan ook lijdzzaam de vergunning afwachten. Dit voorstel wil daarom de voorwaarden aanpassen zodat men een aanvraag kan indienen wanneer er geen alternatief voor handen is dat vergund is, in de handel is en dat ook terugbetaald wordt.

N-VA	: Nieuw-Vlaamse Alliantie
Ecolo-Groen	: Ecologistes Confédérés pour l'organisation de luttes originales – Groen
PS	: Parti Socialiste
VB	: Vlaams Belang
MR	: Mouvement Réformateur
CD&V	: Christen-Democratisch en Vlaams
PVDA-PTB	: Partij van de Arbeid van België – Parti du Travail de Belgique
Open Vld	: Open Vlaamse liberalen en democraten
sp.a	: socialistische partij anders
cdH	: centre démocrate Humaniste
DéFI	: Démocrate Fédéraliste Indépendant
INDEP-ONAFH	: Indépendant - Onafhankelijk

Abréviations dans la numérotation des publications:		Afkorting bij de numering van de publicaties:	
DOC 55 0000/000	Document de la 55 ^e législature, suivi du numéro de base et numéro de suivi	DOC 55 0000/000	Parlementair document van de 55 ^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 vertaald 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 (beige gekleurd papier)

DÉVELOPPEMENTS

MESDAMES, MESSIEURS,

Les patients qui souffrent d'une maladie rare doivent souvent attendre très longtemps avant qu'un nouveau médicament innovant leur soit administré. Après l'autorisation de l'Agence européenne des médicaments, une procédure d'autorisation doit en effet encore être suivie en Belgique.

Dès lors qu'aucun traitement alternatif n'était disponible pour certains patients, deux procédures exceptionnelles ont été prévues en 2006, ce qui a permis d'accorder une autorisation provisoire pour certains médicaments innovants dans certains cas exceptionnels. Les patients ont ainsi eu accès plus rapidement à ces médicaments bien que la procédure d'enregistrement ait été encore en cours.

Ces deux procédures sont les suivantes: l'une concerne "l'usage compassionnel" (également appelé "*compassionate use*") et l'autre les "programmes médicaux d'urgence" (également appelés "*medical need*").

Pour "l'usage compassionnel", une entreprise pharmaceutique demande à l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS) d'entamer une procédure exceptionnelle en faveur d'un groupe ciblé de patients pour des raisons compassionnelles. Cette procédure vise tout médicament destiné aux patients souffrant d'une maladie chronique, d'une maladie qui affaiblit gravement la santé ou d'une maladie constituant une menace pour la vie, et qui ne peut être traitée de manière satisfaisante au moyen d'un autre médicament. Le médicament concerné doit soit avoir fait l'objet d'une demande d'autorisation de mise sur le marché, soit être en cours d'essais cliniques.

Lorsque la demande est approuvée, l'entreprise pharmaceutique doit veiller à ce que le médicament soit administré aux patients participants à ses propres frais.

Les programmes médicaux d'urgence sont similaires mais visent toutefois des médicaments qui ont déjà été autorisés pour une autre indication. Ces médicaments sont dès lors disponibles sur le marché pour d'autres traitements mais ne peuvent pas encore être utilisés pour traiter la maladie des patients concernés.

Ces deux programmes sont subordonnés à la condition qu'il ne peut exister aucune alternative autorisée et commercialisée. Or, cette double condition est souvent source de problèmes lorsqu'une alternative autorisée et

TOELICHTING

DAMES EN HEREN,

Patiënten die lijden aan een zeldzame ziekte moeten vaak tergend lang wachten tot een nieuw innovatief geneesmiddel bij hen geraakt. Na de goedkeuring door het Europese geneesmiddelenagentschap moet nog een vergunningsprocedure in dit land doorlopen worden.

Omdat er voor sommige patiënten geen alternatieve behandeling voorhanden was, werden in 2006 twee uitzonderingsprocedures ingevoerd. Dit maakte het mogelijk om in uitzonderlijke gevallen een tijdelijke vergunning toe te kennen voor innovatieve geneesmiddelen. Op die manier kregen patiënten sneller toegang tot deze geneesmiddelen, alhoewel de registratieprocedure nog lopende was.

De twee procedures zijn de volgende: één voor "gebruik in schrijnende gevallen" (ook bekend als *compassionate use*) en één voor "medische noodprogramma's" (ook bekend als *medical need*).

Bij "gebruik in schrijnende gevallen" vraagt een farmaceutisch bedrijf voor een bepaalde groep patiënten aan het federaal agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten (FAGG) om redenen van medeleven een uitzonderingsprocedure op te starten. Het gaat om een geneesmiddel voor patiënten die lijden aan een chronische ziekte, een ziekte die de gezondheid sterk ondermijnt of een ziekte die levensbedreigend wordt geacht. Er mag geen alternatief geneesmiddel bestaan waarmee de patiënten op bevredigende wijze kunnen behandeld worden en dat vergund en in de handel is. Er moet een aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen zijn ingediend of er moeten klinische proeven lopende zijn voor het betrokken geneesmiddel.

Indien de aanvraag goedgekeurd wordt, dan moet het farmaceutisch bedrijf op eigen kosten ervoor zorgen dat het geneesmiddel tot bij de deelnemende patiënten komt.

Medische noodprogramma's zijn gelijkaardig, met dat verschil dat het hier gaat om een geneesmiddel dat wel al vergund is voor een andere indicatie. Het geneesmiddel is dus op de markt voor andere behandelingen maar het mag nog niet gebruikt worden om de aandoening van de betrokken patiënten te behandelen.

Voor beide programma's geldt de beperking dat er geen alternatief voor handen mag zijn dat vergund is en in de handel is. Deze voorwaarden brengen regelmatig een probleem met zich mee, wanneer er een alternatief

commercialisée existe mais n'est pas remboursée. Dès lors que les deux premières conditions sont remplies, le médicament n'entre pas en considération pour les procédures exceptionnelles et les patients doivent dès lors se tourner vers le médicament alternatif tant que la procédure d'autorisation du nouveau médicament est en cours.

Les demandes de procédures d'exception concernent généralement des médicaments innovants très onéreux pour des maladies rares dont la plupart des patients ne sont pas en mesure de supporter le coût. Ces patients sont dès lors pénalisés s'il existe une alternative non remboursée. Nous partons du principe que la décision de ne pas rembourser le médicament alternatif est fondée et qu'il ne convient dès lors pas de prévoir des exceptions à cet égard.

En revanche, ces patients pourront être aidés dans le cadre d'un "programme d'usage compassionnel" ou d'un "programme médical d'urgence" si les conditions sont modifiées comme suit: le médicament sera pris en considération si aucune alternative autorisée, commercialisée et remboursée n'est disponible.

Cela permettra d'aider gratuitement un groupe de patients qui doit actuellement attendre avec résignation qu'un nouveau médicament innovant soit autorisé.

COMMENTAIRE DES ARTICLES

Article 2

L'article 2 règle les conditions auxquelles le Roi peut mettre des médicaments à usage humain à disposition en vue d'un usage compassionnel.

L'article 6^{quater}, 2°, de la loi du 24 mars 1964 sur les médicaments est complété par une définition de "l'usage compassionnel". Cette définition est empruntée au Règlement (CE) N° 726/2004 auquel renvoie la proposition de loi initiale. Il est en outre ajouté que cette disposition ne s'applique pas seulement en l'absence de médicament alternatif autorisé et commercialisé, mais qu'il doit s'agir d'un médicament autorisé, commercialisé et, de surcroît, remboursé.

On évite ainsi que l'application de "l'usage compassionnel" soit refusée aux patients lorsqu'il existe une alternative extrêmement coûteuse non remboursée.

voorhanden is dat vergund en in de handel is, maar niet terugbetaald wordt. Aangezien aan de eerste twee voorwaarden voldaan is, komt het geneesmiddel niet in aanmerking voor de uitzonderingsprocedures. Bijgevolg moeten de patiënten zich wenden tot het alternatieve geneesmiddel, zolang het nieuwe geneesmiddel zijn vergunningsprocedure doorloopt.

De aanvragen voor uitzonderingsprocedures gaan veelal om zeer dure innovatieve geneesmiddelen voor zeldzame ziektes. De kostprijs van deze geneesmiddelen kunnen de meeste patiënten niet dragen. Wanneer er dus een alternatief voorhanden is dat niet terugbetaald wordt, blijven deze patiënten in de kou staan. De indieners gaan ervan uit dat men om gegronde redenen beslist heeft om het alternatief niet terug te betalen. Hierop moeten dan ook geen uitzonderingen bepaald worden.

Deze patiënten kunnen echter wel geholpen worden via een programma voor "gebruik in schrijnende gevallen" of een "medisch noodprogramma", indien men de voorwaarden als volgt wijzigt: een geneesmiddel komt in aanmerking indien er geen alternatief beschikbaar is dat vergund is, in de handel is en dat terugbetaald wordt.

Op die manier kunnen we kosteloos een groep patiënten helpen die nu lijdzaam de vergunning van een nieuw innovatief geneesmiddel moet afwachten.

ARTIKELSGEWIJZE TOELICHTING

Artikel 2

Artikel 2 regelt de voorwaarden waaronder de koning geneesmiddelen voor menselijk gebruik voor gebruik in schrijnende gevallen kan ter beschikking stellen.

In artikel 6^{quater}, 2°, van de wet van 24 maart 1964 op de geneesmiddelen wordt nu ook een definitie toegevoegd voor "schrijnende gevallen". Deze definitie wordt overgenomen uit Verordening (EG) Nr. 726/2004, waarnaar in het oorspronkelijke wetsvoorstel gerefereerd wordt. Tegelijk wordt de bepaling ingevoerd dat het niet enkel toepasbaar is bij het ontbreken van een alternatief geneesmiddel dat vergund is en in de handel is, maar dat het moet gaan om een geneesmiddel dat vergund is, in de handel is en terugbetaald wordt.

Hiermee wordt voorkomen dat patiënten een toepassing van "gebruik in schrijnende gevallen" geweigerd wordt, wanneer er een zeer duur niet terugbetaald alternatief voorhanden is.

L'article 2 complète en outre la définition des "programmes médicaux d'urgence" à l'article 6^{quater}, 3°.

Grâce à cet ajout, il sera dorénavant également possible de recourir à un programme médical d'urgence en l'absence de médicament alternatif autorisé, commercialisé et, de surcroît, remboursé pour le traitement de l'affection en cause.

Artikel 2 vult tevens in artikel 6^{quater}, 3°, de definitie van "medische noodprogramma's" verder aan.

De aanvulling zorgt er voor dat men nu ook aanspraak kan maken op een medisch noodprogramma bij het ontbreken van een alternatief geneesmiddel dat vergund werd voor de behandeling van die aandoening, dat in de handel is en dat bovendien terugbetaald wordt.

Kathleen DEPOORTER (N-VA)

PROPOSITION DE LOI

Article 1^{er}

La présente loi règle une matière visée à l'article 74 de la Constitution.

Art. 2

Dans l'article 6^{quater}, § 1^{er}, alinéa 1^{er}, de la loi du 25 mars 1964 sur les médicaments, rétabli par la loi du 1^{er} mai 2006 et modifié, en dernier lieu, par la loi du 3 août 2012, les modifications suivantes sont apportées:

a) le 2° est remplacé par ce qui suit:

“Le Roi peut également fixer des règles concernant la mise à disposition de médicaments à usage humain en vue d'un usage compassionnel.

Par “usage compassionnel”, on entend la mise à disposition, pour des raisons compassionnelles, d'un médicament, relevant d'une catégorie visée à l'article 3, paragraphes 1 et 2, du Règlement (CE) N° 726/2004, à un groupe de patients souffrant d'une maladie chronique, d'une maladie qui affaiblit gravement la santé ou d'une maladie constituant une menace pour la vie, et qui ne peut être traitée de manière satisfaisante au moyen d'un médicament autorisé, commercialisé et remboursé.

Conformément à l'article 6 du même Règlement, le médicament concerné doit soit avoir fait l'objet d'une demande d'autorisation de mise sur le marché, ou être en cours d'essais cliniques.”;

b) l'alinéa 2, 3°, est complété par les mots “et remboursé”.

16 décembre 2019

WETSVOORSTEL

Artikel 1

Deze wet regelt een aangelegenheid als bedoeld in artikel 74 van de Grondwet.

Art. 2

In art. 6^{quater}, § 1, eerste lid, van de wet van 25 maart 1964 op de geneesmiddelen, hersteld bij de wet van 1 mei 2006 en laatstelijk gewijzigd bij de wet van 3 augustus 2012, worden de volgende wijzigingen aangebracht:

a) de bepaling onder 2° wordt vervangen als volgt:

“De Koning kan tevens regels vastleggen inzake het beschikbaar stellen van geneesmiddelen voor menselijk gebruik voor gebruik in schrijnende gevallen.

Onder “schrijnende gevallen” wordt verstaan het beschikbaar stellen, om redenen van medeleven, van een geneesmiddel dat tot een in artikel 3, leden 1 en 2, van Verordening (EG) Nr. 726/2004, genoemde categorie behoort en aan een groep patiënten die lijden aan een chronische ziekte, een ziekte die de gezondheid sterk ondermijnt of levensbedreigend wordt geacht en die niet op bevredigende wijze kan worden behandeld met een vergund geneesmiddel, dat in de handel is en terugbetaald wordt.

Voor het betrokken geneesmiddel moet overeenkomstig artikel 6 van dezelfde Verordening een aanvraag voor een vergunning voor het in de handel brengen zijn ingediend of moeten de klinische proeven nog gaande zijn.”;

b) in de bepaling onder 3°, tweede lid, worden de woorden “en terugbetaald wordt” ingevoegd tussen de woorden “in de handel is” en “. Het betrokken geneesmiddel”.

16 december 2019

Kathleen DEPOORTER (N-VA)