

**BENELUX
INTERPARLEMENTAIRE
ASSEMBLEE**

18 mei 2018

Thema “Weesgeneesmiddelen”

VERSLAG

NAMENS DE COMMISSIE VOOR
SOCIALE ZAKEN, VOLKSGEZONDHEID,
ONDERWIJS EN SPORT

UITGEBRACHT DOOR
DE DAMES **Yoleen VAN CAMP** EN
Sabine VERMEULEN

**ASSEMBLÉE
INTERPARLEMENTAIRE
BENELUX**

18 mai 2018

Thème “Médicaments orphelins”

RAPPORT

FAIT AU NOM DE LA COMMISSION DES
AFFAIRES SOCIALES, DE LA SANTÉ PUBLIQUE
ET DES SPORTS

PAR
MMES **Yoleen VAN CAMP** ET
Sabine VERMEULEN

I. INLEIDING

Op 12 mei 2017 besliste de commissie om de problematiek van de weesgeneesmiddelen te agenderen. Een eerste gedachtewisseling over dit thema vond plaats tijdens de vergadering van 30 juni en op 29 september 2017 besliste de commissie om, op basis van een nota van mevrouw Van Camp, hierover enkele hoorzittingen te organiseren, met het oog op het opstellen van een aanbeveling. De dames Yoleen Van Camp en Sabine Vermeulen werden aangeduid als rapporteurs.

Deze hoorzittingen vonden plaats op 20 oktober en 17 november 2017.

Tijdens de vergadering van de commissie 9 maart 2018 werd een voorstel van aanbeveling, opgesteld door de beide rapporteurs, voor de eerste maal besproken. De plenaire vergadering van de Benelux Interparlementaire Assemblee oordeelde op 24 maart 2018 echter dat er voor de door beide rapporteurs voorgestelde tekst onvoldoende draagvlak bestond en nodigde de commissie uit om een nieuwe werkmethode te ontwikkelen om een aanbeveling uit te werken.

Op 20 april 2018 besliste de commissie om mevrouw Van den Berg en de heer Ramakers te belasten met het uitwerken van een nieuw voorstel van aanbeveling. Dit voorstel werd op 18 mei 2018 door de commissie besproken en eenparig goedgekeurd.

II. EERSTE GEDACHTEWISSELING IN DE COMMISSIE SOCIALE ZAKEN, VOLKSGEZONDHEID, ONDERWIJS EN SPORT

Mevrouw Detiège herinnert eraan dat de commissie tijdens haar vergadering van 12 mei 2017 heeft beslist het thema "Weesgeneesmiddelen" te agenderen op suggestie van mevrouw Van Camp. Het gaat om geneesmiddelen die worden ontwikkeld voor zeldzame aandoeningen, wat als gevolg heeft dat de afzetmarkt voor deze producten per definitie klein is, zeker als men dit per land bekijkt. Wanneer er bijvoorbeeld in België slechts 3 patiënten zijn met een bepaalde aandoening, kan de kost voor hen enorm oplopen. Vandaar dat de bedrijven zowel als de overheid de vraag stellen om

I. INTRODUCTION

Le 12 mai 2017, la commission a décidé de porter la question des médicaments orphelins à son ordre du jour. Un premier échange de vues sur ce thème s'est déroulé lors de la réunion du 30 juin, et la commission a décidé, le 29 septembre 2017, d'organiser une série d'auditions sur la base d'une note de Mme Van Camp en vue de la rédaction d'une recommandation. Mesdames Yoleen Van Camp et Sabine Vermeulen ont été désignées comme rapportrices.

Ces auditions se sont tenues les 20 octobre et 17 novembre 2017.

Une proposition de recommandation établie par les rapportrices a été examinée pour la première fois lors de la réunion de commission du 9 mars 2018. L'assemblée plénière de l'assemblée interparlementaire Benelux a toutefois estimé le 24 mars 2018 qu'il n'y avait pas de soutien suffisant en faveur du texte proposé par les rapportrices et a invité la commission à arrêter une nouvelle méthode de travail en vue de la rédaction d'une recommandation.

Le 20 avril 2018, la commission a décidé de charger Mme Van den Berg et M. Ramakers de rédiger une nouvelle proposition de recommandation. Celle-ci a été examinée par la commission et adoptée à l'unanimité le 18 mai 2018.

II. PREMIER ÉCHANGE DE VUES AU SEIN DE LA COMMISSION DES AFFAIRES SOCIALES, DE LA SANTÉ PUBLIQUE, DE L'ENSEIGNEMENT ET DES SPORTS

Mme Detiège rappelle que la commission a décidé, lors de sa réunion du 12 mai 2017, de porter le thème des "Médicaments orphelins" à son ordre du jour sur la proposition de Mme Van Camp. Les médicaments orphelins sont développés pour soigner des affections rares, ce qui signifie que, par définition, le marché pour ces produits est restreint, particulièrement lorsqu'on considère la question par pays. Ainsi, lorsque trois patients seulement sont atteints d'une affection donnée, les coûts qu'ils ont à supporter peuvent atteindre des montants très élevés. C'est pourquoi les entreprises et les

hierover op het niveau van de Benelux akkoorden te sluiten. Voor de bedrijven is dit een goede zaak omdat een grotere afzetmarkt hen ook toelaat om stabiele prijsafspraken te maken met de overheid. Ook voor de patiënten is er dan de zekerheid dat hun geneesmiddelen zullen worden terugbetaald door de ziekteverzekering. Op deze wijze kan men ook emotionele debatten, zoals bijvoorbeeld over de terugbetaling in België van Soliris, vermijden. Hoewel de meeste bedrijven in dialoog willen treden met de overheid om tot afspraken te komen, zijn er enkele die de overheid op emotionele wijze, via de pers, onder druk zetten: “als deze patiënten hun geneesmiddelen niet krijgen, zullen ze sterven.”

Spreekster verwijst naar een werknota van 5 bedrijven, gespecialiseerd in onderzoek en ontwikkeling in deze materie, die zélf een aantal beleidsvoorstellen hebben gedaan. Zij zouden kunnen uitgenodigd worden voor een hoorzitting, net zoals vertegenwoordigers van de overheid, om tot een aanbeveling te komen.

De heer Oberweis stelt voor dat mevrouw Van Camp een overzicht zou maken van deze zeldzame ziektes. Over hoeveel personen gaat het?

De heer Kok vraagt zich af of het geen illusie is te geloven dat, als de Benelux-landen samenwerken, de prijzen van de weesgeneesmiddelen zullen dalen. De kartels van de farmaceutische industrie staan immers heel sterk.

Mevrouw Detiège repliceert dat het in België regelmatig voorkomt dat deze bedrijven akkoorden sluiten met de overheid. Een schaalvergroting zou dit nog interessanter maken.

De heer Oberweis stelt voor dat mevrouw Van Camp als rapporteur een nota opstelt die de problematiek schetst en die als werkdocument kan worden gebruikt voor de verdere besprekingen en hoorzittingen. Het is een onbekend terrein en het is belangrijk dat de Benelux ook voor deze mensen

pouvoirs publics demandent que des accords soient conclus à ce sujet au niveau du Benelux. C'est une bonne chose pour les entreprises parce qu'un marché plus large leur permet de conclure des accords de prix stables avec les pouvoirs publics. Les patients ont quant à eux la certitude que leurs médicaments seront remboursés par l'assurance maladie. Cela permet également d'éviter des débats émotionnels comme au sujet du remboursement en Belgique du médicament Soliris. Bien que la plupart des entreprises souhaitent le dialogue avec les pouvoirs publics pour en arriver à des accords, certaines d'entre elles recourent à des arguments émotionnels pour exercer une pression sur les pouvoirs publics par le biais de la presse: “Faute de recevoir leurs médicaments, ces patients mourront.”

L'oratrice se réfère à une note de travail rédigée par cinq entreprises spécialisées dans la recherche et le développement en cette matière, qui ont elles-mêmes formulé un certain nombre de propositions à caractère politique. Elles pourraient être invitées à une audition, tout comme des représentants des pouvoirs publics, en vue de la rédaction d'une recommandation.

M. Oberweis propose que Mme Van Camp fournisse un aperçu de ces maladies rares. Combien de personnes sont concernées?

M. Kok demande s'il n'est pas illusoire de croire que le prix des médicaments orphelins baissera si les pays du Benelux coopèrent. Les cartels de l'industrie pharmaceutique sont en effet très puissants.

Mme Detiège réplique qu'il arrive régulièrement en Belgique que ces entreprises concluent des accords avec les pouvoirs publics. Un accroissement d'échelle rendrait la chose encore plus intéressante.

M. Oberweis propose qu'en sa qualité de rapportrice, Mme Van Camp consacre à la problématique une note qui pourrait servir de document de travail pour les discussions et les auditions à venir. Il s'agit d'un terrain inconnu et, s'il est important que le Benelux se préoccupe lui aussi de ces gens, il faut

zorg draagt, maar men moet eerst goed in kaart brengen hoe de verschillende lidstaten omgaan met deze problematiek. Mevrouw Van Camp zou ook een werkwijze kunnen voorstellen en enkele pistes naar voor kunnen schuiven.

De heer Alain de Muysen, adjunct-secretaris-generaal van de Benelux, verwijst naar een intentieverklaring die in 2015 werd ondertekend door de Belgische en Nederlandse ministers van Volksgezondheid om over de weesgeneesmiddelen te onderhandelen. Luxemburg en Oostenrijk hebben zich hierbij aangesloten in 2016.

III. HOORZITTINGEN

A. Hoorzitting van 20 oktober 2017.

Hoorzitting met:

— Mevrouw Diane Kleinermans, adviseur van mevrouw Maggie De Block, minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid (B)

— Mevrouw Katelijne De Nys, voorzitter van de Commissie Terugbetalingen van het Rijksinstituut voor Ziekte- en Invaliditeitsverzekering (B)

— De heer Wim Penninckx, Afdelingshoofd Evaluatoren, Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (B)

— De heer Aldo Golja, Senior beleidsmedewerker aanspraak en financiering van dure geneesmiddelen, Coordinator van het BeNeLuxA Initiatief inzake Geneesmiddelenbeleid, Ministerie van Volksgezondheid Welzijn en Sport (N)

a. Uiteenzettingen

Mevrouw Diane Kleinermans, adviseur van mevrouw Maggie De Block, minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid (B)

Mevrouw Diane Kleinermans, adviseur van mevrouw Maggie De Block, minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid (B) zal ook namens de heer Aldo Golja, Senior beleidsmedewerker aanspraak en financiering van dure geneesmiddelen, Coördinator van het BeNeLuxA Initiatief

préalablement savoir comment les différents États membres appréhendent la question. Mme Van Camp pourrait également proposer une méthode de travail et avancer des pistes.

M. Alain de Muysen, secrétaire général adjoint de l'Union Benelux, se réfère à une déclaration d'intention que les ministres de la Santé belge et néerlandais ont signée en 2015 pour discuter de la question des médicaments orphelins. Le Luxembourg et l'Autriche se sont joints à l'initiative en 2016.

III. AUDITIONS

A. Audition du 20 octobre 2017.

Auditions avec:

— Mme Diane Kleinermans, conseillère de Mme Maggie De Block, ministre des Affaires sociales et de la Santé publique (B)

— Mme Katelijne De Nys, présidente de la Commission de remboursement des médicaments de l'Institut national d'assurance maladie-invalidité (B)

— M. Wim Penninckx, chef de service Évaluateur, Agence fédérale pour les médicaments et les produits de santé (B)

— M. Aldo Golja, Senior beleidsmedewerker aanspraak en financiering van dure geneesmiddelen, coordinateur de l'initiative BeNeLuxA, ministère de la Santé publique, du Bien-être et des Sports (N)

a. Exposés.

Mme Diane Kleinermans, conseillère de Mme Maggie De Block, ministre des Affaires sociales et de la Santé publique (B)

Mme Diane Kleinermans, conseillère de Mme Maggie De Block, ministre des Affaires sociales et de la Santé publique (B), qui s'exprimera également au nom de M. Aldo Golja, Senior beleidsmedewerker aanspraak en financiering van dure geneesmiddelen, Coördinateur de l'Initiative

inzake Geneesmiddelenbeleid, Ministerie van Volksgezondheid Welzijn en Sport (N), spreken om het BeneluxA project voor te stellen.

Het BeneluxA initiatief heeft als doel om aan patiënten geneesmiddelen ter beschikking te stellen tegen een aanvaardbare prijs, zonder evenwel ons sociale zekerheidsstelsel in gevaar te brengen. Deze uitdaging wordt steeds groter. Enerzijds zijn het aantal patiënten en de markt voor weesgeneesmiddelen per definitie klein en anderzijds worden die geneesmiddelen steeds meer gesofisticeerd wat steeds grotere ontwikkelingskosten met zich meebrengt. De kost voor weesgeneesmiddelen stijgt dan ook exponentieel.

Het BeneluxA initiatief is één van de manieren om een antwoord te bieden aan deze uitdagingen. Dit initiatief is het gevolg van de oproep in 2014, onder het Italiaanse voorzitterschap van de Europese Unie, om meer samen te werken in deze aangelegenheid en coalities te vormen die een invloed kunnen uitoefenen op de kostprijs. Het Belgische regeerakkoord uit 2014 bevat eveneens de intentie om meer samen te werken met andere Europese lidstaten om samen oplossingen te vinden voor zeldzame ziekten en hen tegen de juiste prijs toegang te bieden tot geneesmiddelen. In 2015 hebben België en Nederland samen een “letter of intent” ondertekend en in hetzelfde jaar heeft Luxemburg zich hierbij aangesloten. In 2016 heeft Oostenrijk zich aangesloten bij dit initiatief.

Deze “letter of intent” legt de domeinen vast waarbinnen de verschillende landen wensen samen te werken en bepaalt ook het objectief van de samenwerking, zijnde de betrokken patiënten op duurzame wijze toegang te verlenen tot de innovatieve geneesmiddelen tegen een redelijke prijs. Het gaat om een vrijwillige samenwerking tussen de landen waarvoor een duidelijk politiek mandaat werd gegeven. De benadering is eerder pragmatisch en doelgericht en is gebaseerd op consensus.

De voordelen die men daarmee wenst te bereiken zijn divers. Vooreerst wenst men de HTA (Health Technology Assessment) beter op mekaar af te stemmen, maar het is ook de bedoeling om tot een coherente aanpak te komen van de prijzen en terugbetalingen in de verschillende landen en

BeNeLuxA en matière de médicaments, Ministère de la Santé publique et des Sports (N), présentera le projet BeneluxA.

L'initiative BeneluxA a pour but de fournir des médicaments à des patients à un prix acceptable, sans toutefois mettre en péril notre régime de sécurité sociale. Le défi est de plus en plus important. D'une part, le nombre de patients et le marché des médicaments orphelins sont par définition restreints et d'autre part, ces médicaments sont de plus en plus sophistiqués, ce qui entraîne des coûts de développement toujours plus élevés. Le coût des médicaments orphelins connaît dès lors augmentation exponentielle.

L'initiative BeneluxA est l'une des manières d'apporter une réponse à ces défis. Elle résulte de l'appel lancé en 2014, sous la présidence italienne de l'Union européenne, en faveur d'une coopération plus large en la matière et la constitution de coalitions pouvant permettre d'influer sur les prix. L'accord de gouvernement belge de 2014 exprime également l'intention d'accentuer la coopération avec d'autres États membres européens afin de trouver ensemble des solutions aux maladies rares et de permettre l'accès à des médicaments au juste prix. En 2015, la Belgique et les Pays-Bas ont signé une déclaration d'intention à laquelle le Luxembourg s'est joint la même année encore. En 2016, l'Autriche a à son tour adhéré à l'initiative.

Cette déclaration d'intention définit les domaines dans lesquels les différents pays souhaitent coopérer ainsi que l'objectif de cette coopération, à savoir permettre l'accès, de manière durable, des patients aux médicaments innovants à un prix raisonnable. Il s'agit d'une coopération sur une base volontaire entre les pays, qui fait l'objet d'un mandat politique clair. L'approche, plutôt pragmatique, est axée sur un objectif donné et repose sur le consensus.

Les avantages que l'on cherche ainsi à obtenir sont divers. Tout d'abord, l'on souhaite mieux coordonner les HTA (Health Technology Assessment) mais aussi définir une approche cohérente des prix et des remboursements dans les différents pays dans le secteur pharmaceutique. En levant les

van de ontwikkelingen in de farmaceutische sector. Door de barrières tussen de deelnemende landen weg te werken hoopt men front te kunnen vormen tegen de farmaceutische sector en tot een gemeenschappelijk aanpak te komen.

Er zijn 4 domeinen van samenwerking: “horizon scanning”, HTA, het delen van informatie en het delen van specifieke informatie om tot gezamenlijke onderhandelingen te komen. De “horizon scanning” moet de landen toelaten om gezamenlijk zo vroeg mogelijk de geneesmiddelen te herkennen die een belangrijke impact op de ziekteverzekering kunnen hebben, hetzij via de kostprijs per patiënt, hetzij op het globale budget van de ziekteverzekering. Via de HTA (Health Technology Assessment) kan men een gezamenlijke evaluatie maken van een geneesmiddel. Het delen van informatie kan bijvoorbeeld gaan over de prevalentie van een bepaalde ziekte in de verschillende landen, de lokale situatie, de eventuele alternatieven, e.d.m. Bedoeling is om ook meer gevoelige informatie te delen, zoals bijvoorbeeld de prijs of de wijze waarop vanuit de politieke wereld naar een bepaald geneesmiddel wordt gekeken. De laatste etappe is dan om samen na te gaan welke de mogelijkheden zijn inzake terugbetaling en prijszetting. Het is ook de intentie om tot grensoverschrijdende registers te komen.

Het doel van de “horizon scanning” is om reeds in een vroeg stadium bepaalde producten te identificeren die een belangrijke impact kunnen hebben op de gezondheidsbudgetten, zodat men zich hierop beleidsmatig kan voorbereiden. Dit systeem wordt nu op poten gezet. Daarbij werd vertrokken van het Nederlandse systeem, dat werd aangevuld op basis van een studie van het Belgische Federaal Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg. De aldus verkregen methodologie, die in mei 2017 werd gefinaliseerd, laat toe gegevens te verzamelen maar ze ook te filteren om bepaalde moleculen te detecteren. Aan andere landen – niet enkel Europese landen maar ook daarbuiten – werd in juni 2017 de vraag gesteld of men zich hierbij niet wenste aan te sluiten, met als deadline 1 november 2017. Dan kan een offerte worden gelanceerd zodat het systeem in 2018 van start kan gaan.

Een ander domein van samenwerking is de HTA (Health Technology Assessment), waarbij weliswaar moet worden vermeden om dubbel werk te

barrières entre les pays participants, l'on espère pouvoir faire front face au secteur pharmaceutique et définir une approche commune.

Il y a quatre domaines de coopération: l’“horizon scanning”, le HTA, le partage de l’information et le partage d’informations spécifiques en vue de négocier ensemble. L’“horizon scanning” doit permettre aux pays de reconnaître à un stade aussi précoce que possible les médicaments qui peuvent avoir un impact important sur l’assurance maladie par le biais du coût par patient ou sur le budget global de l’assurance maladie. Les HTA (Health Technology Assessment) permettent de procéder à une évaluation commune d’un médicament. Le partage d’informations peut porter sur la prévalence d’une maladie donnée dans les différents pays, sur la situation locale, sur les éventuelles alternatives, etc. L’objectif est également de partager des informations sensibles comme le prix ou le regard du monde politique sur un médicament donné. La dernière étape consiste à vérifier ensemble quelles possibilités existent en matière de remboursement et de fixation des prix. Il est également prévu de constituer des registres transfrontaliers.

L’objectif de l’“horizon scanning” consiste à identifier à un stade précoce certains produits susceptibles d’avoir un impact important sur les budgets de la santé afin de pouvoir s’y préparer du point de vue politique. Ce système est actuellement en préparation. On s’est fondé à cet effet sur le système néerlandais, complété sur la base d’une étude du Centre fédéral belge d’expertise des soins de santé. La méthodologie ainsi définie, qui a été finalisée en mai 2017, permet de collecter des données mais également de les filtrer pour détecter certaines molécules. En juin 2017, il a été demandé à d’autres pays – européens mais également extra-européens – s’ils souhaitaient adhérer, le délai ultime étant fixé au 1er novembre 2017. Après cette date, une offre pouvait être lancée afin que le système puisse démarrer en 2018.

Les HTA (Health Technology Assessment) constituent un autre domaine de coopération mais il faut évidemment éviter les doublons. Le point de

doen. Het vertrekpunt daarbij is de expertise die werd opgebouwd bij EUnetHTA (European network for Health Technology Assessment). Het formaat en de regels die worden gebruikt bij de gemeenschappelijke HTA in het kader van BeneluxA zijn gebaseerd op EUnetHTA. In de praktijk is deze gemeenschappelijke evaluatie die tot een gezamenlijke conclusie leidt zeer belangrijk om de onderhandelingen met de farmaceutische sector aan te vatten.

Dat neemt niet weg dat vandaag de regels en de procedures die in elk land van het BeneluxA initiatief gelden nog steeds van toepassing zijn. De samenwerking moet zich hieraan aanpassen, wat tot praktische bezwaren leidt. Agenda's moeten immers op mekaar worden afgestemd en gezamenlijke doelen moeten worden bepaald. Op basis van de reeds gelanceerde pilootprojecten kan men nagaan of ook daar geen grotere harmonisering mogelijk is. Een ander obstakel bestaat in de wetgeving inzake het gebruik der talen. Intern gebruikt men steeds het Engels als voertaal en er wordt bekeken of de wetgeving ook niet kan worden aangepast dat dit ook extern kan gebeuren, hoewel het gebruik van de landstalen ongetwijfeld nodig zal blijken.

Bij de gemeenschappelijke HTA waren verschillende opties mogelijk, zoals een gezamenlijk onderzoek dat door de deelnemende landen wordt gedragen, of een erkenning van een evaluatie dat in één van deze landen is gebeurd, of het beroep doen op een externe evaluator die zijn bevindingen in een dossier wereldkundig maken.

Een derde objectief van het BeneluxA project is de uitwisseling van informatie, zowel van "softe" informatie als van strategische informatie. Waar dit tot nog toe eerder op informele basis gebeurde, is het nu de bedoeling om systematisch informatie uit te wisselen met het oog op het verbeteren van de positie van zowel de ziekteverzekering als de patiënt. Hiervoor wordt een platform opgericht dat deze uitwisseling van informatie moet vergemakkelijken en een gezamenlijk register moet mogelijk maken.

Het vierde domein is de prijszetting en terugbetaling van weesgeneesmiddelen. Eens een bepaald geneesmiddel met een significante budgettaire impact werd ontdekt via de "horizon scanning" en

débat à cet égard est l'expertise acquise par le Réseau européen d'évaluation des technologies de la santé (EUnetHTA/European network for Health Technology Assessment). Le format et les règles utilisés dans le cadre des HTA communs dans le Benelux sont fondée sur l' EUnetHTA. Dans la pratique, cette évaluation commune débouchant sur une conclusion commune est très importante dans le contexte de l'amorce des négociations avec le secteur pharmaceutique.

Les règles et les procédures en vigueur actuellement dans chaque pays de l'initiative BeneluxA restent toutefois d'application. La coopération doit s'y adapter, ce qui entraîne des objections d'ordre pratique. Il faut en effet coordonner les agendas et définir des objectifs communs. La possibilité d'une harmonisation plus large peut être examinée sur la base des projets pilotes déjà en cours. La législation comporte un autre obstacle en matière d'emploi des langues. L'anglais est toujours utilisé à l'interne comme langue véhiculaire et la possibilité d'adapter la législation pour qu'il puisse également l'être de manière externe est envisagée, bien que l'emploi des langues nationales s'avérera assurément nécessaire.

Il existait plusieurs options concernant les HTA communs, comme une étude commune portée par les pays participants, la reconnaissance d'une évaluation effectuée dans un des pays ou encore le recours à un évaluateur externe qui rend ses observations publiques dans un dossier.

L'échange d'informations tant "soft" que stratégiques constitue un troisième objectif de l'initiative BeneluxA. Alors que les échanges se faisaient sur une base informelle jusqu'ici, l'objectif est désormais d'y procéder systématiquement pour améliorer la position de l'assurance-maladie et celle du patient. Une plate-forme destinée à faciliter cet échange d'informations et à permettre la constitution d'un registre commun sera créée à cet effet.

Le quatrième domaine est celui de la fixation des prix et du remboursement des médicaments orphelins. Une fois qu'un médicament ayant un

een evaluatie heeft plaatsgevonden die heeft geleid tot een coherente conclusie, kunnen de betrokken landen trachten tot een akkoord te komen een werkkader en kunnen de onderhandelingen met het betrokken farmaceutisch bedrijf starten. Het doel daarbij is niet noodzakelijk om tot een laagst mogelijke prijs te komen, maar wel tot een rechtvaardige prijs te komen, gerechtvaardigd door de geschatte toegevoegde waarde van het product.

In het kader van het pilootproject werd een eerste onderhandeling in 2017 afgerond, die weliswaar niet heeft geleid tot een terugbetaling van het betrokken geneesmiddel. Dit hoeft echter niet als een mislukking te worden beschouwd. Het feit dat een gemeenschappelijke onderhandeling al mogelijk is gebleken, is een overwinning op zich: dat enkele Europese landen rond de tafel zitten en tot een gemeenschappelijke conclusie kunnen komen is immers al een nieuwigheid. De gemeenschappelijke argumenten van de verschillende landen maakten hen immers sterker tegenover de farmaceutische bedrijven en maakten het makkelijker om de eindbeslissing te rechtvaardigen. Overigens vonden de onderhandelingen met het betrokken bedrijf niet plaats in één van de deelnemende landen, maar wel met de hoofdzetel van het bedrijf, waarmee men meteen spreekt met diegenen die een waar onderhandelingsmandaat hebben. Bij onderhandelingen op nationaal niveau is dit niet steeds het geval!

Welke lessen kan men trekken uit de projecten die reeds gerealiseerd zijn? Het is zeer belangrijk dat men vanuit de politiek een echt mandaat geeft en er betrokkenheid wordt getoond om het BeneluxA project te doen slagen. Het smeden van een coalitie in deze aangelegenheid helpt ook om op andere fora gemeenschappelijke perspectieven uit te tekenen. Het uitwisselen van informatie heeft ook een onmiddellijk effect en de wijze waarop men gegevens uitwisselt inzake weesgeneesmiddelen verlaagt ook de drempel om dit ook over andere gelegenheden te doen. De betrokken administraties communiceren veel makkelijker met mekaar over andere dossiers, wat op zich heel positief is.

Het is gebleken dat informele communicatie en politieke wil essentieel zijn op alle niveaus. Spreekster pleit ook voor een betere afstemming van procedures in de verschillende deelnemende

impact budgétaire significatif a été identifié par le biais de l'“horizon scanning” et qu'il a été procédé à une évaluation qui a débouché sur une conclusion cohérente, les pays concernés doivent chercher à conclure un accord et définir un cadre de travail, après quoi les négociations peuvent être entamées avec la société pharmaceutique concernée. Il ne s'agit pas nécessairement d'obtenir le prix le plus bas possible mais un prix équitable, justifié par la valeur ajoutée estimée du produit.

Dans le cadre du projet pilote, une première négociation a été finalisée en 2017, sans toutefois déboucher sur le remboursement du médicament concerné. Il ne faut toutefois pas y voir un échec. Le fait qu'une négociation commune ait été possible constitue une victoire en soi: quelques pays européens se sont assis à la table de négociation pour aboutir à une conclusion commune et c'est là un fait nouveau. Les arguments communs avancés par les différents pays les ont en effet rendus plus forts face aux entreprises pharmaceutiques et ont permis de justifier plus aisément la décision finale. Du reste, les négociations avec l'entreprise concernée ne se sont pas déroulées dans un des pays participants mais avec le siège principal de l'entreprise, ce qui signifie que l'on négocie directement avec les acteurs qui détiennent véritablement un mandat de négociation. On ne peut pas toujours en dire autant lors de négociations au niveau national!

Quelle leçon peut-on tirer des projets déjà réalisés? Il est important que le politique décerne un véritable mandat et que la volonté de faire réussir le projet BeneluxA soit affichée. La constitution d'une coalition contribue également à créer des perspectives communes dans d'autres forums. L'échange d'informations exerce aussi un effet direct et la manière dont on échange des données relatives aux médicaments orphelins a également pour effet d'abaisser le seuil à franchir dans d'autres domaines. Les administrations concernées communiquent beaucoup plus facilement entre elles sur d'autres dossiers, ce qui est très positif en soi.

Il est apparu que la communication informelle et la volonté politique sont essentielles à tout niveau. L'oratrice plaide également pour une meilleure

landen en voor een stapsgewijze en geplande uitbreiding naar andere landen dan diegene die vandaag reeds deelnemen. Een ander land kan mogelijk van oordeel zijn dat het wenst deel te nemen aan de “horizon scanning” en niet geïnteresseerd zijn in de andere aspecten van de samenwerking van het BeneluxA initiatief. Vandaag hebben andere landen reeds hun belangstelling voor dit initiatief laten blijken, zonder dat concreet een kalender werd vastgelegd. De openbare aanbesteding voor de “horizon scanning” heeft veel geïnteresseerde deelnemers en dit wordt in november 2017 bekeken.

De consensus tussen de vier deelnemende landen is dat men zich vandaag vooral wil focussen op concrete resultaten, eerder dan op uitbreiding naar andere landen.

Mevrouw Katelijne De Nys, voorzitter van de Commissie Terugbetalingen van het Rijksinstituut voor Ziekte- en Invaliditeitsverzekering (B)

Mevrouw Katelijne De Nys, voorzitter van de Commissie Terugbetalingen van het Rijksinstituut voor Ziekte- en Invaliditeitsverzekering, verklaart dat sedert de oprichting van het BeneluxA initiatief op Belgisch niveau voor 4 verschillende weesgeneesmiddelen een gemeenschappelijk traject is geweest. In 2 gevallen werd het rapport samen geschreven door Nederland en België; in een ander geval deden België en Nederland gezamenlijk een beroep op een externe expert en in nog een ander geval heeft België een Nederlands rapport geëvalueerd en aangepast aan de Belgische situatie.

Spreekster is het eens met de vorige spreekster dat het initiatief een enorme meerwaarde biedt en meer gewicht geeft aan de evaluaties die gebeuren en ook tot een beter gemeenschappelijk onderhandelingsstandpunt leidt.

De heer Wim Penninckx, Afdelingshoofd Evaluatoren, Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (B)

coordination des procédures dans les différents pays participants et pour un élargissement graduel et programmé à d'autres pays que ceux qui participent déjà aujourd'hui. Un autre pays peut éventuellement vouloir participer à l'“horizon scanning” sans être intéressé par les autres aspects de la coopération dans le cadre de l'initiative BeneluxA. À ce jour, d'autres pays ont manifesté leur intérêt pour cette initiative sans pour autant qu'un échéancier concret ait été fixé. Le marché public pour l'“horizon scanning” compte de nombreux participants intéressés et l'examen se fera en novembre 2017.

Aux termes du consensus intervenu entre les quatre pays participants, l'accent doit être mis aujourd'hui sur des résultats concrets plutôt que sur l'élargissement à d'autres pays.

Mme Katelijne De Nys, présidente de la Commission de remboursement des médicaments de l'Institut national d'assurance maladie-invalidité (B)

Mme Katelijne De Nys, présidente de la Commission de remboursement des médicaments de l'Institut national d'assurance maladie-invalidité, indique que depuis la création de l'initiative BeneluxA au niveau de la Belgique, il y a eu un parcours commun pour quatre médicaments orphelins différents. Dans deux cas, le rapport a été établi en commun par la Belgique et les Pays-Bas; dans un autre, la Belgique et les Pays-Bas ont recouru ensemble à un expert externe; dans un autre cas encore, la Belgique a évalué à un rapport néerlandais et l'a adapté à la situation belge.

L'oratrice estime, comme l'oratrice précédente, que l'initiative renferme une plus-value énorme, confère davantage de poids aux évaluations qui sont faites et débouche sur un meilleur point de vue dans le cadre de négociations.

M. Wim Penninckx, chef de la section évaluateur, agence fédérale pour les médicaments et les produits de santé (B)

De heer Wim Penninckx, Afdelingshoofd Evaluatoren, Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (B), verklaart dat dit Agentschap een rol speelt in drie aangelegenheden.

De eerste rol speelt het FAGG bij de toekenning van het statuut “weesgeneesmiddel”, wat vrij vroeg in de ontwikkeling van het geneesmiddel gebeurt. Een wetenschappelijk comité gaat dan na of er voldaan is aan de vereisten die de wetgeving voorschrijft. Wanneer het geneesmiddel daadwerkelijk het statuut “weesgeneesmiddel” ontvangt biedt dit heel wat voordelen, niet enkel op het financiële vlak maar ook inzake de procedures voor wetenschappelijk advies op het Europees niveau. Er is dan ook een goedkoper tarief van kracht om het geneesmiddel op de markt te brengen.

Verder in de ontwikkeling kan het betrokken farmaceutisch bedrijf wetenschappelijk advies vragen bij het Europees Geneesmiddelen Agentschap, hetzij gratis hetzij aan een verminderd tarief, afhankelijk van de situatie.

Wanneer het bedrijf dan besluit om het geneesmiddel daadwerkelijk op de markt te brengen gebeurt dit verplicht via het Europees Geneesmiddelen Agentschap. Wanneer de marktvergunning, gaat dit Agentschap andermaal na of er nog steeds voldaan is aan de vereist van “weesgeneesmiddel”. In al deze procedures werkt het FAGG, dat vertegenwoordigd is in het Europees Geneesmiddelen Agentschap, actief mee.

In België tracht het FAGG een positief klimaat te scheppen voor klinische studies rond zeldzame ziektes. Bovendien maakt het FAGG het in uitzonderlijke schrijnende gevallen mogelijk om nog niet geregistreerde geneesmiddelen reeds te laten gebruiken.

b. Bespreking

De heer Van Hattem verwijst naar de discussie die in Nederland aan de gang is over de geneesmiddelen voor taaislijmziekten. In hoeverre vallen dergelijke geneesmiddelen binnen de beschreven procedure? Kan de Benelux hier iets bereiken voor de patiënten?

De heer Wim Penninckx, chef de service Évaluateur, Agence fédérale pour les médicaments et les produits de santé (B), déclare que cette agence joue un rôle dans trois domaines.

Le premier rôle est celui que l'AFMPS joue dans l'attribution du statut de “médicament orphelin”, à un stade précoce du développement du médicament. Un comité scientifique vérifie alors s'il est satisfait aux critères prescrits par la loi. Lorsque le médicament a effectivement obtenu le statut de “médicament orphelin”, les avantages sont nombreux au plan financier mais également en ce qui concerne les procédures d'avis scientifique au niveau européen. Un tarif plus intéressant s'applique alors aussi en vue de la commercialisation du médicament.

Ultérieurement dans le cadre du développement, l'entreprise pharmaceutique concernée peut demander un avis scientifique auprès de l'Agence européenne des médicaments, gratuitement ou à un tarif préférentiel en fonction de la situation.

Si l'entreprise décide ensuite de commercialiser effectivement le médicament, elle doit nécessairement passer par l'Agence européenne des médicaments. Lors de l'octroi de l'autorisation de commercialisation, l'agence vérifie une fois encore s'il est toujours satisfait aux critères du “médicament orphelin”. L'AFMPS, qui est représentée au sein de l'Agence européenne des médicaments, participe activement à toutes ces procédures.

En Belgique, l'AFMPS s'emploie à créer un climat positif concernant les études cliniques sur les maladies rares. En outre, elle peut faire en sorte, dans des cas exceptionnellement graves, de permettre l'utilisation de médicaments non encore enregistrés.

b. Discussion.

M. Van Hattem se réfère à la discussion qui est menée aux Pays-Bas au sujet des médicaments contre la mucoviscidose. Dans quelle mesure de tels médicaments s'inscrivent-ils dans la procédure telle qu'elle a été définie? Le Benelux peut-il obtenir quelque chose pour les patients?

Mevrouw Diane Kleinermans, adviseur van mevrouw Maggie De Block, minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid (B), antwoordt dat er een lijst bestaat van geneesmiddelen die in aanmerking komen voor de gemene procedure, die regelmatig wordt geüpdatet. Wanneer een bepaald product wordt geïdentificeerd via de zgn. "horizon scanning", is het aan het bedrijf om te beslissen of men aan deze gemeenschappelijke procedure wil deelnemen. Tijdens de testfase gaat het immers om een vrijwillige deelname; men kan het bedrijf niet verplichten om deel te nemen maar men kan wel wijzen op de voordelen van een deelname aan de procedure, zoals bijvoorbeeld het feit dat men slechts één dossier moet in dienen in de 4 landen die deelnemen aan het BeneluxA project en dat men dan meteen toegang heeft tot een gemeenschappelijke markt van 34 miljoen mensen.

Zij kan echter geen antwoord geven op de specifieke vraag van de heer Van Hattem.

Mevrouw De Nys vult aan dat hoe dan ook moet rekening worden gehouden met de geregistreerde indicaties in de gebieden waar klinische studies zijn gebeurd. De procedure van samenwerking zal hieraan niets veranderen. Het blijft wenselijk dat het betrokken bedrijf zelf onderzoek doet. Het kan zeker niet de bedoeling zijn dat, omwille van de grensoverschrijdende samenwerking, dit aspect wordt overgenomen door de deelnemende landen.

De heer Raemakers onderschrijft de vraag in verband met de discussie over geneesmiddelen voor taaislijmziekten of mucoviscidose, waar een discussie aan de gang is tussen de zorgverzekeraars en de ontwikkelaar van het geneesmiddel over het al dan niet terugbetalen.

Spreker herinnert eraan dat in de Europese Unie ongeveer 30 miljoen personen lijden aan een zeldzame ziekte. De cijfers over de incidentie van geneesmiddelen geven aan dat 5 op 10 000 personen. Beide cijfers corresponderen niet met mekaar: de EU heeft immers geen 60 miljard inwoners. Wanneer is er sprake van een zeldzame ziekte en van een weesgeneesmiddel?

Mevrouw De Nys antwoordt dat het geneesmiddel Orkambi het voorwerp heeft uitgemaakt van een gezamenlijke beoordeling. In België heeft men

Mme Diane Kleinermans, conseillère de Mme Maggie De Block, ministre des Affaires sociales et de la Santé publique (B), répond qu'il existe une liste de médicaments entrant en ligne de compte pour la procédure commune, laquelle est régulièrement mise à jour. Lorsqu'un produit donné est identifié par le biais de l'"horizon scanning", il appartient à l'entreprise de décider de participer à cette procédure commune. Au cours de la phase de tests, la participation se fait effet sur une base volontaire; on ne peut pas contraindre l'entreprise à participer mais on peut souligner les avantages d'une participation à la procédure, comme le fait que le dossier ne doit être introduit qu'une fois pour les quatre pays qui participent à l'initiative BeneluxA et l'accès direct donné d'emblée à un marché commun de 34 millions de personnes.

Elle ne peut toutefois fournir de réponse à la question spécifique de M. Van Hattem.

Mme De Nys ajoute qu'il faut, quoi qu'il en soit, tenir compte des indications enregistrées dans les domaines où des études cliniques ont été réalisées. La procédure de coopération n'y changera rien. Il reste souhaitable que l'entreprise concernée fasse de la recherche. Il ne saurait être question, en raison de la coopération transfrontalière, que cet aspect soit repris par les pays participants.

M. Raemakers se joint à la question relative à la discussion sur les médicaments contre la mucoviscidose. Une discussion est en cours entre les assureurs de soins de santé et le concepteur du médicament à propos du remboursement.

L'orateur rappelle que dans l'Union européenne, environ 30 millions de personnes souffrent d'une maladie rare. Les chiffres relatifs à l'incidence de médicaments montrent que 5 personnes sur 10.000 sont concernées. Les deux chiffres ne correspondent pas: l'UE ne compte en effet pas 60 milliards d'habitants. Quand parle-t-on d'une maladie rare et de médicaments orphelins?

Mme De Nys répond que le médicament Orkambi a fait l'objet d'une évaluation commune. À cet égard, la Belgique est confrontée au même problème que

op dit punt dezelfde problemen als in Nederland, wat andermaal de voordelen van de grensoverschrijdende samenwerking aantoont. Dit alles neemt niet weg dat men geen geneesmiddelen zal terugbetalen waarvoor geen wetenschappelijk bewijs voorhanden is.

Mevrouw Kleinermans vult aan dat men in België en Nederland na gezamenlijk onderzoek tot dezelfde conclusie kwam om het geneesmiddel Orkambi niet terug te betalen. Het betrokken farmaceutisch bedrijf heeft dan echter steeds de mogelijkheid om op nationaal niveau de procedure te starten, wat zij overigens reeds heeft gedaan in Nederland en België.

De heer Wim Penninckx, Afdelingshoofd Evaluatoren, Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten (B), verwijst voor de definitie van "weesgeneesmiddel" naar artikel 3 van het de Europese Verordening nr. 141/2000 van 16 december 1999 inzake weesgeneesmiddelen, dat luidt als volgt:

"1. Een geneesmiddel wordt als weesgeneesmiddel aangewezen indien de initiatiefnemer kan aantonen

a) dat het betrokken geneesmiddel bedoeld is voor de diagnose, preventie of behandeling van een levensbedreigende of chronisch invaliderende aandoening waaraan maximaal vijf per 10 000 personen in de Gemeenschap lijden op het tijdstip van de aanvraag, of dat het geneesmiddel bedoeld is voor de diagnose, preventie of de behandeling, in de Gemeenschap, van een levensbedreigende, ernstig invaliderende of chronische aandoening, en dat het weinig waarschijnlijk is dat zonder stimulerende maatregelen de opbrengst uit de afzet van het geneesmiddel in de Gemeenschap toereikend zou zijn om de noodzakelijke investering te rechtvaardigen;

en

a) dat er geen bevredigende, in de Gemeenschap toegelaten methode bestaat voor de diagnose, preventie of behandeling van de betrokken aandoening, of, indien een dergelijke methode wel bestaat, dat degenen die aan deze aandoening lijden aanzienlijk baat hebben bij het geneesmiddel."

les Pays-Bas, ce qui illustre une fois de plus les avantages de la coopération transfrontalière. Tout cela n'empêche pas qu'il ne sera pas procédé au remboursement de médicaments pour lesquels il n'existe pas de preuves scientifiques.

Mme Kleinermans précise qu'à l'issue d'un examen commun, la Belgique et les Pays-Bas ont abouti à la même conclusion, celle de ne pas rembourser le médicament Orkambi. Mais il est toujours loisible à l'entreprise pharmaceutique concernée d'entamer la procédure au niveau national, ce qu'elle a d'ailleurs déjà fait aux Pays-Bas et en Belgique.

M. Wim Penninckx, chef de service Évaluateur, Agence fédérale pour les médicaments et les produits de santé (B), se réfère pour la définition du "médicament orphelin" à l'article 3 du Règlement européen n° 141/2000 du 16 décembre 1999 relatif aux médicaments orphelins, qui est libellé comme suit:

"1. 1. Un médicament obtient la désignation de médicament orphelin si son promoteur peut établir:

a) qu'il est destiné au diagnostic, à la prévention ou au traitement d'une affection entraînant une menace pour la vie ou une invalidité chronique ne touchant pas plus de cinq personnes sur dix mille dans la Communauté, au moment où la demande est introduite, ou qu'il est destiné au diagnostic, à la prévention ou au traitement, dans la Communauté, d'une maladie mettant la vie en danger, d'une maladie très invalidante ou d'une affection grave et chronique, et qu'il est peu probable que, en l'absence de mesures d'incitation, la commercialisation de ce médicament dans la Communauté génère des bénéfices suffisants pour justifier l'investissement nécessaire;

et

b) qu'il n'existe pas de méthode satisfaisante de diagnostic, de prévention ou de traitement de cette affection ayant été autorisée dans la Communauté, ou, s'il en existe, que le médicament en question procurera un bénéfice notable à ceux atteints de cette affection."

Voor de heer Raemakers blijft het onduidelijk hoe de cijfers, geciteerd door de Belgische minister van Volksgezondheid in een persbericht van 20 april 2015, zich tot mekaar verhouden.

Mevrouw De Nys verklaart dat er vele soorten weesgeneesmiddelen zijn. Zij verwijst ook naar de zgn. “salami pricing” waarbij door de opsplitsing van bepaalde aspecten van vaak voorkomende aandoeningen, zoals bijvoorbeeld longkanker, vele nieuwe weesgeneesmiddelen in het leven worden geroepen, gebaseerd op kleine genetische verschillen. Op die manier blijft het aantal patiënten dat op een bepaald geneesmiddel moet beroep doen klein en wordt het aantal weesgeneesmiddelen alsmaar groter.

B. Hoorzitting van 17 november 2017.

Hoorzitting met:

— de heer Jean-Jacques Cassiman, professor emeritus, Centrum Menselijke Erfelijkheid KU Leuven, namens de Koning Boudewijnstichting (B)

— de heer Cees Smit, voormalig voorzitter van de Vereniging Samenwerkende Ouder- en patiëntenorganisaties (VSOP) en voormalig lid van de Adviescommissie Pakket (ACP) van het Zorginstituut Nederland (N)

a. Uiteenzettingen

Uiteenzetting van de heer Jean-Jacques Cassiman, professor emeritus, Centrum Menselijke Erfelijkheid KU Leuven, namens de Koning Boudewijnstichting (B)

De heer Jean-Jacques Cassiman, professor emeritus, Centrum Menselijke Erfelijkheid KU Leuven, die spreekt namens het Fonds Zeldzame Ziekten en Weesgeneesmiddelen van de Belgische Koning Boudewijnstichting, verklaart dat er 7 à 8 000 verschillende ziekten zijn waarvan op het Europese niveau werd gedefinieerd dat er minder dan 1 op 2 000 personen aan lijden. Op zich is dit echter een enorme groep: zo'n 8 % van de Europese bevolking. Op dit ogenblik bestaan er maar voor 10 % van deze zeldzame ziekten, d.w.z. 700 à 800, een behandeling. Er zijn dan ook meer inspanningen nodig om ervoor te zorgen dat een

M. Raemakers ne voit toujours pas clairement où les chiffres cités par la ministre belge de la Santé publique dans un communiqué de presse du 20 avril 2015 se situent l'un par rapport à l'autre.

Mme De Nys indique qu'il existe de nombreuses sortes de médicaments orphelins. Elle se réfère au “salami pricing” qui a pour conséquence, par la subdivision opérée entre certains aspects d'affections très fréquentes, comme le cancer du poumon, que de nombreux médicaments orphelins sont créés sur la base de légères différences génétiques. De la sorte, le nombre de patients qui doivent recourir à un médicament donné reste peu élevé et le nombre de médicaments orphelins ne cesse de croître.

B. Audition du 17 novembre 2017.

Audition avec:

— M. Jean-Jacques Cassiman, professeur émérite, Centrum Menselijke Erfelijkheid KU Leuven, au nom de la Fondation Roi Baudoin (B)

— M. Cees Smit, ancien président de la Vereniging Samenwerkende Ouder- en patiëntenorganisaties (VSOP) et ancien membre de l'Adviescommissie Pakket (ACP) du Zorginstituut Nederland (N)

a. Exposés.

Exposé de M. Jean-Jacques Cassiman, professeur émérite, Centrum Menselijke Erfelijkheid KU Leuven, au nom de la Fondation Roi Baudoin (B)

M. Jean-Jacques Cassiman, professeur émérite, Centrum Menselijke Erfelijkheid KU Leuven, s'exprimant au nom du Fonds des maladies rares et des médicaments orphelins de la Fondation Roi Baudoin, déclare qu'il existe 7 à 8000 maladies différentes pour lesquelles il a été défini au niveau européen qu'elles touchent moins de 1 personne sur 2000. En soi, cela représente néanmoins un groupe énorme, soit quelque 8 % de la population européenne. Actuellement, il n'existe de traitement que pour 10 % de ces maladies rares, c'est-à-dire 700 à 800. Il faut dès lors déployer davantage d'efforts pour faire en sorte de proposer

behandeling voor de andere 90 % mogelijk wordt en een einde te maken aan vaak schrijnende toestanden. De lidstaten van de Europese Unie en de EU zélf promoten het wetenschappelijk onderzoek naar deze zeldzame ziekten, maar de markt voor deze geneesmiddelen is per definitie zeer klein. De prijzen van deze geneesmiddelen zijn dan ook enorm hoog.

Op basis van wat er gedurende jaren bij het Fonds Zeldzame Ziekten en Weesgeneesmiddelen van de Belgische Koning Boudewijntichting gebeurd is, hebben in 2011 verschillende werkgroepen heel wat aanbevelingen geformuleerd om het Belgisch plan inzake zeldzame ziekten te kunnen uitvoeren. Omwille van de politieke situatie in België werd hiermee een tijdlang niets gedaan, maar in 2014 heeft de toenmalige Belgische minister van Volksgezondheid enkele koninklijke besluiten uitgevaardigd, die in 2016 werden geconcretiseerd. Verschillende bevoegdheden werden intussen immers overgeheveld van het federale niveau naar de gemeenschappen. Op basis van het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten is, sedert 2016, bijvoorbeeld de functie “zeldzame ziekten” ter beschikking in de Belgische universitaire ziekenhuizen. Omdat 80 % van deze zeldzame ziekten erfelijke ziekten zijn, is er in elk universitair ziekenhuis een genetisch centrum aanwezig. Nu wordt gewerkt aan de netwerken “Zeldzame Ziekten”, zodat dat alle faciliteiten van universitaire en regionale ziekenhuizen in kaart worden gebracht en hierover overeenkomsten kunnen worden gesloten. Hier wordt heel wat vooruitgang geboekt, vooral aan Vlaamse kant, zodat patiënten met een zeldzame ziekten overal kunnen worden opgevangen. Tenslotte wordt, nog steeds ter uitvoering van het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten, gewerkt aan de erkenning van Expert Centra Zeldzame Ziekten. Dit gaat evenwel eerder moeizaam.

Intussen worden ook op het Europese niveau de nodige initiatieven genomen. Sedert februari 2017 is er een Europees “reference network of rare diseases”. Groepen van ziekenhuizen zijn gaan samenwerken over een bepaalde zeldzame ziekte. Op deze wijze doet de Europese Unie een poging om de nog bestaande grenzen tussen de lidstaten progressief weg te werken op het punt van zeldzame ziekten.

un traitement pour les 90 % restants et de mettre un terme à des situations souvent criantes. Les États membres de l'Union européenne et l'Union européenne elle-même promeuvent la recherche scientifique sur ces maladies rares mais le marché de ces médicaments est par définition très restreint. Les prix de ces médicaments sont par conséquent extrêmement élevés.

Sur la base de ce qui été réalisé pendant des années par le Fonds des maladies rares et des médicaments orphelins de la Fondation Roi Baudoin, plusieurs groupes de travail ont formulé en 2011 des recommandations en vue de la mise en œuvre du plan belge en matière de maladie rare. En raison de la situation politique en Belgique, rien n'a été fait pendant un certain temps mais, en 2014, le ministre de la Santé publique de l'époque a promulgué des arrêtés royaux qui ont été concrétisés en 2016. Entre-temps, des compétences avaient été transférées du niveau fédéral aux communautés. En vertu du plan national Maladies rares, il existe par exemple depuis 2016 une fonction “maladies rares” dans les hôpitaux universitaires belges. Étant donné que 80 % des maladies rares sont héréditaires, chaque hôpital universitaire est doté d'un centre génétique. L'on travaille actuellement sur les réseaux “maladie rares” pour réaliser la cartographie de l'ensemble des facilités offertes par les hôpitaux universitaires et régionaux et des conventions peuvent être conclues à ce sujet. Des avancées importantes sont réalisées, particulièrement du côté flamand, de sorte que les patients atteints d'une maladie rare peuvent être accueillis partout. Enfin, toujours en exécution du plan national maladie rare, l'on prépare la reconnaissance de centres d'expertise des maladies rares. Les progrès sont toutefois assez lents.

Entre temps, les initiatives requises sont également prises au niveau européen. Il existe depuis le mois de février 2017 un réseau européen de référence des maladies rares. Des groupes d'hôpitaux universitaires coopèrent dans le cadre d'une maladie rare donnée. De la sorte, l'Union européenne cherche à lever progressivement les frontières qui subsistent entre les États membres dans le domaine des maladies rares.

Dankzij de verschillende werkgroepen van het Fonds Zeldzame Ziekten en Weesgeneesmiddelen van de Belgische Koning Boudewijnstichting werden er 42 concrete voorstellen tot maatregelen geformuleerd. Slechts een beperkt deel hiervan werd overgenomen in het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten van de verschillende overheden in België. De voorstellen inzake een betere toegankelijkheid en de financiering van de medische behandeling gingen in de eerste plaats over informatie inzake klinische testen, programma's voor "*compassionate use*" en "*medical need*". Er is op dit punt weinig vooruitgang geboekt. Er is duidelijk verbetering wat betreft de klinische studies. Er is op dit vlak meer mogelijk dankzij het faciliteren van het opzetten van klinische testen in verschillende landen. Ook de procedure waarmee "commissies voor ethiek" tot een uniek advies komen in het geval van zeldzame ziekten is verbeterd. Er werden dus ernstige stappen vooruit gezet sedert de formulering van de aanbevelingen van het Fonds Zeldzame Ziekten en Weesgeneesmiddelen van de Belgische Koning Boudewijnstichting.

Daarmee is uiteraard niet gezegd dat alle problemen voor de patiënten werden opgelost. Bijvoorbeeld is de financiële stimulatie van academische, niet-commerciële, klinische studies voor zeldzame ziekten nog niet gerealiseerd. Ook de rol van het Belgische Bijzonder Solidariteitsfonds, dat tussenkomt voor behandelingen die zeer hoge kosten met zich meebrengen, moet nog worden herbekeken. Wél werd sedert 1 november 2017 een doorbraak bereikt in het garanderen dat de grondstoffen die nodig zijn voor medische bereidingen op een wettelijke manier kunnen worden gebruikt. Dit is ook het geval met het opzetten van een systeem voor de vroegtijdige toegang tot weesgeneesmiddelen met inbegrip van vroegtijdige, voorlopige terugbetaling. Er is daarentegen nog wat werk aan de winkel op het punt van de colleges voor weesgeneesmiddelen, die reeds hebben bewezen een goede praktijk te zijn.

Inzake het verantwoord off-label gebruik van geneesmiddelen, dat moet mogelijk zijn om patiënten met een zeldzame ziekte te behandelen onder specifieke omstandigheden, is nog weinig concreets gerealiseerd. Er zijn ook nog stappen te zetten in de ondersteuning van thuisbehandeling met weesgeneesmiddelen onder duidelijke

Grâce aux différents groupes de travail du Fonds des maladies rares et des médicaments orphelins de la Fondation Roi Baudoin, 44 propositions concrètes de mesures ont été formulées. Une partie limitée d'entre elles seulement ont été insérées dans le Plan national maladies rares des différentes autorités que compte la Belgique. Les propositions relatives à un accès plus aisé et au financement des traitements médicaux ont porté en premier lieu sur l'information relative aux tests cliniques, aux programmes de "*compassionate use*" et de "*medical need*". On n'a guère enregistré de progrès dans ce domaine. En revanche, les progrès sont manifestes en ce qui concerne les études cliniques. Davantage de choses sont possibles dans ce domaine grâce à la facilitation des tests cliniques dans les différents pays. De même, la procédure par le biais de laquelle les commissions d'éthique aboutissent à un avis unique dans le cas de maladie rare a été améliorée. Des pas importants ont été franchis depuis la formulation des recommandations du Fonds des maladies rares et des médicaments orphelins de la Fondation Roi Baudoin de Belgique.

Cela ne veut bien évidemment pas dire que tous les problèmes ont été résolus pour les patients. Par exemple, la stimulation financière d'études cliniques universitaires non commerciales sur les maladies rares n'est pas encore une réalité. Le rôle du Fonds spécial de solidarité belge, qui intervient dans les traitements très coûteux, doit être reconsidéré. Une avancée a toutefois été réalisée depuis le 1er novembre 2017 concernant la garantie de pouvoir utiliser de manière légale les matières premières nécessaires à la confection de préparations médicales. C'est également le cas de la mise en œuvre d'un système d'accès précoce aux médicaments orphelins, y compris le remboursement provisoire à un stade précoce. Il reste en revanche beaucoup à faire en ce qui concerne les collèges de médicaments orphelins dont la preuve a déjà été apportée qu'ils constituent une bonne pratique.

En ce qui concerne l'utilisation off-label de médicaments, elle doit être possible pour traiter des patients atteints d'une maladie rare dans certaines circonstances spécifiques. Il reste des démarches à effectuer en faveur du traitement à domicile au moyen de médicaments orphelins à certaines conditions précises ainsi que de la stimulation

voorwaarden en in het stimuleren van therapietrouw via een reeks initiatieven. Ook de leidende rol die België zou moeten spelen voor een aantal Europese problemen met betrekking tot de toegang tot behandeling voor patiënten met een zeldzame ziekte moet zeker nog worden uitgewerkt.

Volgens professor Cassiman is er niettemin sprake van een duidelijke verbetering in de toegankelijkheid tot weesgeneesmiddelen na 2011:

- Art 81 voorziet een reeks nieuwe behandelingen
- Conditionele terugbetaling, ETR en ETA zijn klaar;
- “*Unmed Medical Need*”: hierover werd een mooi voorstel uitgewerkt bij het RIZIV;
- Veel klinische testen en registratie platform komt er;
- Klinische testen bij kinderen zijn mogelijk in België;
- Magistrale bereiding door apothekers kan op wettelijke manier;
- Thuistherapie is uitgebreid;
- Huisapothekers kunnen mits toestemming;
- ‘Gedeeld Farmaceutisch Dossier’ inkijken therapietrouw;
- 4 generische weesgeneesmiddelen;
- ATMP bereiding door ziekenhuisapothekers;
- Initiatief BeNeLuxA: dit is een zeer belangrijk initiatief.

Dit neemt niet weg dat nog vele problemen onopgelost blijven. Zo worden nieuwe therapieën onbetaalbaar. Vaak gaat het om behandelingen tegen kanker, zoals bijvoorbeeld immuuntherapie, waar het soms gaat om enkele honderden duizenden euro's. Ter vergelijking: in het Verenigd

de l'adhésion au traitement par le biais d'un certain nombre d'initiatives. De même, il faudra très certainement encore préciser le rôle de leader de la Belgique dans le cadre de certains problèmes relatifs à l'accès au traitement de patients atteints d'une maladie rare.

Selon le professeur Cassiman, on observe néanmoins une nette amélioration dans l'accessibilité des médicaments orphelins à partir de 2011:

- L'article 81 prévoit une série de nouveaux traitements;
- Le remboursement conditionnel, ETR et ETA sont prêts;
- “*Unmed Medical Need*”: l'INAMI a préparé une proposition intéressante à ce sujet;
- Il y a eu de nombreux tests cliniques et l'enregistrement de la plate-forme sera réalisé;
- Des tests cliniques sur des enfants sont possibles en Belgique;
- Les préparations magistrales par les pharmaciens sont légalement possibles en Belgique;
- La thérapie à domicile a été élargie;
- Les pharmaciens à domicile sont possibles moyennant autorisation;
- Consultation ‘dossier pharmaceutique partagé’, adhésion à la thérapie;
- 4 médicaments orphelins génériques;
- Préparation ATMP pas des pharmaciens hospitaliers;
- Initiative BeNeLuxA: cette initiative est assurément très importante.

Il n'empêche que de nombreux problèmes n'ont pas encore été résolus. Ainsi, les nouvelles thérapies sont impayables. Il s'agit dans de nombreux cas de traitement contre le cancer, comme l'immunothérapie, qui coûtent souvent plusieurs centaines de milliers d'euros. À titre

Koninkrijk werd een limiet van 100,000 £ als maximumprijs ingesteld. Ook het feit dat nog geen verantwoord 'off-label' gebruik mogelijk is, is een ernstig obstakel. De Europese Unie moet hierin de nodige initiatieven nemen. Bovendien blijkt dat het BeneluxA initiatief, dat een zeer belangrijk initiatief is, langzaam te vorderen. Hopelijk wordt de administratie niet belangrijker dan doel. Er zijn nog niet veel resultaten die kunnen worden voorgelegd en dit is wellicht te wijten aan het feit dat de structuren bij de deelnemers erg van mekaar verschillen. Anderzijds is het onbegrijpelijk en onaanvaardbaar dat vele lidstaten nog steeds weigeren met mekaar samen te werken op het punt van de terugbetaling van weesgeneesmiddelen. Er is geen enkele principiële reden om dit niet te doen.

Een ander probleem stelt zich inzake innoverende therapieën. Als de farmaceutische industrie dergelijke therapieën ontwikkelt, zijn de kosten hiervan vaak zeer hoog ingevolge de gemaakte kosten. De kostprijs ervan worden bovendien bepaald in de grote machtscentra zoals Bazel of New York. Veelal worden innoverende therapieën dan ook ontwikkeld door biotech bedrijven, die het dan weer moeilijk hebben om hun product op de markt te brengen. Professor Cassiman pleit dan ook voor een alternatief financieringssysteem. Hierover moet creatief worden nagedacht.

Verder wijst spreker erop dat het voor patiënten vaak moeilijk te begrijpen is dat een therapie, die het fiat heeft gekregen van de Amerikaanse *Food and Drugs Administration*, vaak meer dan een jaar moet wachten op een goedkeuring door het Europese Geneesmiddelen Agentschap. Hier zou meer coördinatie moeten mogelijk zijn, in het belang van de patiënt.

Tenslotte meent professor Cassiman dat het model dat inzake weesgeneesmiddelen werd gehanteerd om vooruitgang te boeken op bepaalde domeinen uniek is, en ook zou moeten worden gebruikt voor het uitwerken van aangepaste zorgprogramma's voor frequente aandoeningen en chronische ziekten.

de comparaison: au Royaume-Uni, une limite de 100.000 livres a été fixée comme prix maximum. Le fait que l'utilisation 'off-label' justifiée ne soit pas encore possible constitue également un sérieux obstacle. L'Union européenne doit prendre les initiatives requises à cet égard. Il s'avère en outre que l'initiative BeneluxA, qui est très importante, progresse lentement. Il est à espérer que les tâches administratives ne vont pas prendre le pas sur l'objectif. Les résultats ne sont actuellement pas très abondants, sans doute parce que les structures au niveau des participants sont encore très différentes l'une par rapport à l'autre. Par ailleurs, il est incompréhensible et inacceptable que de nombreux États membres refusent toujours de collaborer dans le domaine du remboursement des médicaments orphelins. Il n'y a aucune raison de principe de ne pas le faire.

Un autre problème se pose concernant les thérapies innovantes. Si l'industrie pharmaceutique développe de telles thérapies, elles sont souvent très onéreuses en raison des coûts y afférents. Leur coût est en outre fixé dans les grands centres de décision comme Bâle ou New York. Souvent, les thérapies innovantes sont développées par des entreprises de biotechnologies qui éprouvent des difficultés à commercialiser leurs produits. Le professeur Cassiman plaide dès lors pour un système de financement alternatif. Une réflexion créative doit être menée à ce propos.

L'orateur souligne ensuite qu'il est souvent incompréhensible pour les patients qu'il faille souvent plus de six ans à l'Agence européenne des médicaments pour approuver une thérapie qui a reçu l'aval de la *Food and Drugs Administration* américaine. Davantage de coordination devrait être possible ici, dans l'intérêt du patient.

Enfin, le professeur Cassiman estime que le modèle utilisé en matière de médicaments orphelins pour progresser dans certains domaines est unique et pourrait également servir pour la mise au point de programmes de soins adaptés aux affections fréquentes et aux maladies chroniques.

Uiteenzetting van de heer Cees Smit, voormalig voorzitter van de Vereniging Samenwerkende Ouder- en patiëntenorganisaties (VSOP) en voormalig lid van de Adviescommissie Pakket (ACP) van het Zorginstituut Nederland (N)

De heer Cees Smit, spreekt namens de VSOP, de koepel voor patiënten met zeldzame en erfelijke aandoeningen in Nederland. Bij de VSOP zijn ruim 70 patiëntenorganisaties aangesloten met een achterban van één miljoen mensen.

Zijn bijdrage valt uiteen in twee delen, allereerst een meer persoonlijk verhaal over de impact van een zeldzame aandoening. Daarna een aantal opmerkingen over het belang van een gezamenlijk Europees beleid voor zeldzame ziekten en specifiek de actuele discussie over de prijs van weesgeneesmiddelen.

Zijn eigen ervaringen met een zeldzame ziekte: hemofilie.

Hij is geboren in 1951 geboren met een ernstige vorm van hemofilie. Een erfelijke aandoening: een stoornis in de bloedstolling waarbij spontaan inwendige bloedingen in gewrichten en spieren ontstaan. In die tijd was hemofilie niet te behandelen en artsen vertelden zijn ouders dat ze er rekening mee moesten houden dat hij niet oud zou worden.

Zijn aanwezigheid op deze vergadering betekent dat er iets veranderd is. In het midden van de jaren zestig werd het mogelijk de ontbrekende stollingsfactoren bij hemofilie te isoleren uit menselijk bloedplasma en in geconcentreerde vorm toe te dienen. Door deze behandeling leven patiënten niet alleen langer, maar hebben ze ook vrijwel geen school- en werkverzuim meer. Voor de behandeling - intraveneuze toediening van die stollingsfactoren - hoeven ze niet meer naar het ziekenhuis en zij of in geval van jonge kinderen de ouders kunnen dit thuis, op het werk of tijdens reizen zelfstandig toedienen. De meeste patiënten met een ernstige vorm doen dit driemaal per week.

In die zin is hemofilie een *pré-orphan disease*: er was al een behandeling voordat er Amerikaanse en

Exposé de M. Cees Smit, ancien président de la Vereniging Samenwerkende Ouder- en patiëntenorganisaties (VSOP) et ancien membre du Adviescommissie Pakket (ACP) du Zorginstituut Nederland (N)

M. Cees Smit, s'exprime au nom de la VSOP, l'organisation faïtière des patients atteints d'affections rares et héréditaires aux Pays-Bas. La VSOP regroupe plus de 70 organisations de patients représentant 1 million de personnes.

Son intervention comprendra deux volets. Il traitera tout d'abord à titre plus personnel de l'impact des affections rares. Ensuite, il formulera un certain nombre d'observations sur l'intérêt d'une politique européenne commune en matière de maladie rares et, plus spécifiquement, sur le débat actuel relatif au prix des médicaments orphelins.

Ses propres expériences relatives à une maladie rare concernent l'hémophilie.

Il est né en 1951 avec une forme grave d'hémophilie. Il s'agit d'une affection héréditaire, une perturbation de la coagulation qui provoque des saignements spontanés dans les articulations et les muscles. À l'époque, il n'existait pas de traitement contre l'hémophilie et les médecins avaient dit à ses parents qu'ils devaient réaliser qu'il ne vivrait pas vieux.

Sa présence à la réunion est le signe que quelque chose a changé. À partir de la moitié des années soixante, il a été possible d'isoler les facteurs de coagulation absents du plasma sanguin chez les hémophiles et de les administrer sous une forme concentrée. Grâce à ce traitement, non seulement les hémophiles vivent plus longtemps mais ils s'absentent aussi moins souvent du travail ou de l'école. Les patients ne doivent plus se rendre à l'hôpital pour recevoir leur traitement - l'administration intraveineuse des facteurs coagulants - mais peuvent se l'administrer eux-mêmes, ou les parents dans le cas de jeunes enfants, pendant le travail ou lors de déplacement. La plupart des patients atteints d'une forme grave de la maladie le font trois fois par semaine.

En ce sens, l'hémophilie est une *pré-orphan disease*: il existait déjà un traitement avant l'entrée

Europese wetgeving voor zeldzame aandoeningen kwam.

Er waren ook dompers op deze vreugde. In de jaren tachtig van de vorige eeuw bleken er besmettingen met het aids en het hepatitis C virus op te treden bij mensen met hemofilie. Gelukkig zijn er inmiddels ook effectieve geneesmiddelen voor aids en hepatitis C beschikbaar. Ook deze ontwikkeling heeft er aan bijgedragen dat de spreker nu het woord kan nemen.

Deze virusbesmettingen hebben er toe geleid dat er allerlei veiligheidsmaatregelen genomen moesten worden in het productieproces voor deze uit bloedplasma bereide producten. Dat maakte de aanvankelijk goedkope producten er wel duurder op. Na enige tijd kwamen er ook recombinant DNA producten voor hemofilie op de markt, de zogenoemde biologicals.

Zowel aan de bloedplasma producten als aan de biologicals zit – naast het belang van bloedproducten in Europa als strategische goederen - nog een ander probleem: namelijk dat een aantal patiënten antistoffen ontwikkelt. Dit maakt de behandeling vele malen gecompliceerder, het leidt ook tot een hoger sterftecijfer en het is vele malen duurder dan de behandeling van een patiënt zonder antistoffen.

Dit alles maakt dat er inmiddels 50 jaar een redelijk effectieve therapie is, maar geen definitieve genezing. Iets waar iedere patiënt, ieder gezin waarin deze ziekte voorkomt naar uitkijkt. Aan de horizon verrijst het perspectief van gentherapie. De spreker komt daar op het einde van zijn verhaal op terug.

Het Europese weesgeneesmiddelenbeleid.

Zowel de Amerikaanse *Orphan Drug Act* in 1984 als de Europese Wet in 2000 hebben de behandelingsmogelijkheden van de 30 miljoen Europese patiënten met een zeldzame ziekte enorm gestimuleerd. Daarbij hebben patiëntenorganisaties op zowel landelijk als op Europees niveau (Eurordis) daar ook geweldig aan bijgedragen door zich goed te organiseren. Mede door de ontwikkeling van het internet en de sociale media zijn kleine

en vigueur des législations américaine et européenne sur les affections rares.

Certains éléments sont aussi venus tempérer cette satisfaction. Dans les années quatre-vingts du siècle dernier, des infections par le virus du sida et par le virus de l'hépatite C sont apparues chez les hémophiles. Fort heureusement des médicaments efficaces ont été mis au point contre les virus du sida et de l'hépatite C. Ces développements aussi ont aussi contribué à permettre à l'orateur de s'exprimer aujourd'hui.

Les infections par des virus ont nécessité toutes sortes de mesures de sécurité dans le processus de production de produits dérivés du plasma sanguin. Des produits initialement bon marché ont renchéri. Après un certain temps, des produits d'ADN recombinant, les biologicals, sont apparus sur le marché pour le traitement de l'hémophilie.

Outre l'importance que revêtent en Europe les produits à base de sang en tant qu'éléments stratégiques, il se pose un autre problème concernant les produits à base de plasma sanguin et les biologicals: un certain nombre de patients développent des anticorps, ce qui complique fortement le traitement, entraîne une mortalité plus importante et multiplie le prix du traitement par rapport à celui d'un patient qui ne développe d'anticorps.

Tout cela pour dire qu'il existe entre-temps, depuis 50 ans, une thérapie efficace qui ne permet toutefois pas la guérison définitive, ce qui est le vœu de chaque patient, de chaque famille où cette maladie existe. On entrevoit la perspective d'une thérapie de genre sur laquelle l'orateur reviendra à la fin de son exposé.

La politique européenne en matière de médicaments orphelins.

L'*Orphan Drug Act* américain de 1984 comme la loi européenne de 2000 ont très largement stimulé les possibilités de traitement pour les 30 millions de patients européens atteints d'une maladie rare. Les organisations de patients, aux niveaux national comme européen (Eurordis), y ont largement contribué par leur bonne organisation. Grâce au développement de l'Internet et des médias sociaux,

patiëntengroepen nu in staat aansluiting te vinden bij de meest relevante onderzoeksgroepen waar ook ter wereld. Landsgrenzen tellen daarbij niet meer.

De Europese expertisecentra (ERNS) werken goed samen in internationale onderzoeksprogramma's (eRARE) en of patiënten reizen naar deze centra of omgekeerd: artsen reizen naar de patiënten.

De status van een *'Orphan Designation'*, die door bovengenoemde wetten mogelijk werd, leidde inmiddels tot zo'n 1.200 wees-geneesmiddelen die op dit moment onderzocht worden. Ongeveer de helft daarvan betreft oncologische weesgeneesmiddelen. Het aantal daadwerkelijke geneesmiddelen dat nu op de markt is voor zeldzame ziekten is echter aanzienlijk lager dan de 1.200 middelen die onderzocht worden. Dit aantal ligt nu rond de 150.

Deze cijfers betekenen dat er nog een aanzienlijk gat zit tussen de *'serious unmet medical needs'* van zo'n 7.000 zeldzame ziekten waarvoor nog geen effectieve behandeling is en de ziekten waarvoor inmiddels wel een behandeling is. Stimulering van de ontwikkeling van geneesmiddelen voor zeldzame ziekten blijft dus hard nodig en moet op de agenda van alle Europese landen en de Europese Commissie blijven staan. In die zin is het te betreuren dat gezondheidszorg en publieke gezondheidszorg op dit moment geen plek hebben gekregen in de *'White Paper'* van Juncker van maart 2017. Juist gezondheidszorg is een onderwerp dat Europese burgers aan elkaar verbindt, zie ook het belang van de *'Cross-border'* Directive.

De prijs van weesgeneesmiddelen.

De discussie over de prijs van weesgeneesmiddelen maakt duidelijk dat de Europese Wet voor Zeldzame Ziekten evaluatie verdient. Dat in de voorbereiding van die Wet géén of te weinig aandacht is besteed aan het formuleren van voorwaarden voor een redelijke prijsstelling bij het verlenen van stimuleringsmaatregelen voor het ontwikkelen van weesgeneesmiddelen.

de petits groupes de patients ont accès aujourd'hui aux groupes de recherches les plus pertinents partout dans le monde. Les frontières nationales n'existent plus dans ce domaine.

Les centres européens d'expertise (ERNS) coopèrent efficacement dans le cadre de programmes de recherche internationaux (eRARE) et/ou des patients fréquentent ces centres et, inversement, des médecins vont à la rencontre des patients.

Le statut d'une *'Orphan Designation'*, rendu possible par les lois précitées, a permis qu'entretiens, quelque 1200 médicaments orphelins fassent l'objet de recherche aujourd'hui. La moitié environ concerne des médicaments orphelins oncologiques. Toutefois, le nombre de médicaments effectivement commercialisés aujourd'hui pour le traitement de maladies rares est sensiblement inférieur aux 1200 médicaments qui font l'objet de recherches. Ce nombre est actuellement d'environ 150.

Ces chiffres montrent qu'il subsiste un hiatus important entre les *'serious unmet medical needs'* pour quelque 7000 maladies rares pour lesquelles il n'existe pas encore de traitement efficace et les maladies pour lesquelles un traitement a été développé. Il faut donc continuer à stimuler le développement de médicaments destinés au traitement de maladies rares et cet objectif doit rester inscrit à l'ordre du jour de tous les pays européens et de la Commission européenne. En ce sens, il est regrettable que les soins de santé et les soins de santé publique ne figurent pas dans le Livre blanc de M. Juncker de mars 2017. Les soins de santé sont précisément un sujet qui unit les citoyens européens et l'orateur évoque l'importance de la directive *'Cross-border'*.

Le prix des médicaments orphelins.

La discussion sur le prix des médicaments orphelins montre que la législation européenne sur les maladies rares demande à être évaluée. L'on n'a pas été attentif, ou pas suffisamment, dans la phase préparatoire de cette loi, à la formulation de conditions d'une fixation raisonnable des prix lors de l'octroi de stimulants en faveur du développement de médicaments orphelins.

Wat de spreker betreft, zijn er verschillende oplossingen mogelijk voor de problemen die dit veroorzaakt:

— Afspraken per land of per regio (BeneLuxA) over een prijs naar

o marktaandeel voor het betreffende te ontwikkelen

o weesgeneesmiddel

— Afspraken over de prijs naarmate het effect van het geneesmiddel beter is (*'Pay for Performance'*)

— Afspraken met de farmaceutische sector over het gehele terrein van de geneesmiddelenvoorziening. Dat is in Ierland en IJsland gebeurd ten tijde van de economische crisis en nu in België met het ToekomstPact

— Afspraken over vereenvoudiging van de wet- en regelgeving met betrekking tot geneesmiddelen en verdere harmonisering tussen de Europese landen

De prijs van genterapie.

Inmiddels zijn de eerste succesvolle resultaten van genterapie bij hemofilie beschikbaar en hoeven patiënten niet meer of veel minder behandeld te worden. Voor de prijs van genterapie - die waarschijnlijk in het begin hoog zal zijn - betekent dit dat we nu moeten nadenken over een geschikt financieringsmodel.

Bij een denkbeeldige prijs van mogelijk 750.000, betekent dit in het geval van de spreker dat dat bedrag - bij mijn jaarlijkse behandelkosten van rond de 200.000 euro - in ruim vijf jaar terug verdiend kan worden.

Daarvoor moet nu beleid gemaakt worden door een gezamenlijk overleg van beleidmakers, zorgverzekeraars, overheden, bedrijfsleven en niet in de laatste plaats de betrokken patiëntenorganisaties. Zij staan in de startblokken om deze gesprekken aan te gaan.

L'orateur distingue plusieurs solutions possibles aux problèmes qui sont à la base de cette situation:

— Accords par pays ou par région (BeneLuxA) sur un prix, sur la base

o de la part de marché pour le développement du

o médicament orphelin à développer

— Accords sur le prix en fonction de l'amélioration des effets du médicament (*'Pay for Performance'*)

— Accords avec le secteur pharmaceutique à propos de l'ensemble de l'approvisionnement en médicaments. C'est ce qui a été fait en Irlande et en Islande lors de la crise économique et aujourd'hui en Belgique avec le Pacte d'avenir.

— Accords sur une simplification de la législation et de la réglementation relatives aux médicaments et poursuite de l'harmonisation entre les pays européens.

Le prix de la thérapie de genre.

Les premiers résultats positifs de la thérapie de genre dans le traitement de l'hémophilie sont aujourd'hui disponibles et les patients n'ont plus à subir de traitement, ou beaucoup moins. Cela signifie que nous devons réfléchir à présent à un modèle de financement approprié pour ce qui est du prix de la thérapie de genre, qui sera probablement très élevé dans un premier temps.

Dans l'hypothèse d'un prix de 750.000, cela signifie que, dans le cas de l'orateur, ce montant - pour un coût annuel de traitement d'environ 200.000 euros - pourra être récupéré en cinq ans.

Pour cela, il faut définir une politique dans le cadre d'une concertation entre les décideurs politiques, les assureurs de soins de santé, le monde économique et, *last but not least*, les organisations de patients concernées qui sont dans l'attente de ces discussions.

b. Gedachtewisseling

Mevrouw Van Camp vraagt zich af wat er kan gebeuren om van het BeneluxA project een succes te maken. Vandaag wordt men immers al te vaak geconfronteerd met papierwerk en met verschillen tussen de betrokken landen.

Spreekster verwijst naar het onderzoek van de Koning Boudewijnstichting naar het draagvlak dat bij de bevolking bestaat inzake terugbetaling van geneesmiddelen. Daaruit is gebleken dat meeste mensen een goede levenskwaliteit verkiezen boven een verlengd leven dat minder kwalitatief is. Werden de zeldzame ziekten hierin betrokken? Voor de terugbetaling van andere dan weesgeneesmiddelen houdt men immers rekening met kwalitatieve criteria, maar voor weesgeneesmiddelen niet. Is dat iets wat ook in beschouwing kan worden genomen? Welke maatstaf kunnen de beleidsmakers opzetten? Sommige weesgeneesmiddelen worden immers wel in Nederland, maar niet in België terugbetaald. Vaak is dit voor patiënten onbegrijpelijk en voor parlementsleden, die de controle op de regering uitoefenen, moeilijk uit te leggen vermits de contracten met de farmaceutische bedrijven niet transparant zijn. Zoals voor de gewone geneesmiddelen, zouden er ook voor weesgeneesmiddelen een maatstaf moeten worden ontwikkeld.

Mevrouw Van Camp heeft ook de indruk dat het Europese niveau hier tekort komt. Hopelijk kan het Benelux Parlement de basis leggen voor een verdere Europese samenwerking, zoals dit ook het geval is geweest in andere beleidsdomeinen.

Tenslotte verwijst spreekster naar de afspraken die in Ierland en in IJsland werden gemaakt met de farmaceutische sector over het gehele terrein van de geneesmiddelenvoorziening. Het zou interessant zijn om de inhoud hiervan te kennen om hiermee rekening te houden bij het opstellen van het Belgische Toekomstpact.

Professor Cassiman bevestigt dat het voor de patiënten met een zeldzame aandoening waarvoor een geneesmiddel ter beschikking is niet te begrijpen is dat dit geneesmiddel in bepaalde landen wel, en in andere niet worden terugbetaald. Dit is het gevolg van een verschil in aanpak in de terugbetaling

b. Échange de vues

Mme Van Camp demande ce que l'on peut faire pour que le projet BeneluxA soit un succès. L'on n'est en effet que trop souvent confronté aujourd'hui aux procédures administratives et aux différences entre les pays concernés.

L'oratrice se réfère à l'étude de la Fondation Roi Baudouin sur l'adhésion de la population au système de remboursement des médicaments. Il en est ressorti que la plupart des citoyens préfèrent une bonne qualité de vie à une durée de vie allongée mais de moins bonne qualité. A-t-il été question, dans ce cadre, des maladies rares? Pour le remboursement de médicaments autres que les médicaments orphelins, l'on tient compte en effet de critères qualitatifs, ce qui n'est pas le cas des médicaments orphelins. N'est-ce pas un aspect qu'il faut prendre aussi en considération? Quels critères les décideurs politiques peuvent-ils mettre en œuvre? Certains médicaments orphelins sont en effet remboursés aux Pays-Bas mais pas en Belgique. C'est souvent incompréhensible pour les patients et difficile à expliquer pour les parlementaires qui contrôlent le gouvernement, parce que les contrats avec les entreprises pharmaceutiques ne sont pas transparents. Comme pour les médicaments ordinaires, il faudrait définir des critères pour les médicaments orphelins.

Mme Van Camp a le sentiment que le niveau européen aussi laisse à désirer. Il faut espérer que le Parlement Benelux pourra jeter les bases d'une coopération européennes ultérieure, comme ce fut le cas dans d'autres domaines politiques.

L'oratrice se réfère enfin aux accords conclus en Irlande et en Islande avec le secteur pharmaceutique à-propos de l'approvisionnement en médicaments dans son ensemble. Il serait intéressant d'en connaître le contenu pour pouvoir s'en inspirer pour l'élaboration du pacte d'avenir belge.

Le professeur Cassiman confirme qu'il est incompréhensible pour les patients souffrant d'une maladie rare pour laquelle il existe un médicament que ce dernier soit remboursé dans certains pays et pas dans d'autres. C'est la conséquence d'une différence d'approche dans le remboursement de

van geneesmiddelen tussen, bijvoorbeeld, België en Nederland. Weliswaar is er voldoende expertise aanwezig in beide landen, maar men moet eerst vastleggen wat men wil bereiken en niet naar wat in de weg zit om dit te bereiken, gelet op de verschillende structuren in beide landen. Men moet een wijziging aanbrengen in de gebruikelijke werkwijze. Sommige Europese projecten, zoals bijvoorbeeld Eunetha, leveren goed werk en zouden dit kunnen overnemen, maar er is een drempelvrees bij de Europese lidstaten. Nochtans zou dit leiden tot een snellere besluitvorming en tot een besparing.

Spreker is het er mee eens dat er te weinig criteria ter beschikking worden gesteld aan de patiënten om uit te maken of een geneesmiddel al dan niet wordt terugbetaald. Als er een geneesmiddel is dat een kostprijs heeft van 40 000 euro waarvoor 70 000 euro wordt gevraagd, en het blijkt zeer efficiënt te zijn, dan wordt vaak dat goedgekeurd. Waar men wel op kan besparen is wanneer de efficiëntie van een geneesmiddel te beperkt is gelet op de middelen die men heeft. Daarbij moet men een onderscheid maken tussen de korte termijn – enkele jaren – en de lange termijn. Op korte termijn zijn er andere middelen dan het pact dat de Belgische minister van Volksgezondheid heeft gesloten met de farmaceutische industrie. Er zijn andere besparingen mogelijk. Maar dit lost het fundamentele probleem niet op. Men zou ook alle investeringen vanuit de overheid en vanuit privéfondsen in onderzoek naar geneesmiddelen moeten meerekenen in de uiteindelijke prijs van het geneesmiddel dat op de markt wordt gebracht. De industrie heeft immers niet alle kosten gedragen.

Er zijn creatieve modellen om de financiering van nieuwe modellen op termijn beter onder controle te kunnen houden, maar dit is niet eenvoudig. Expertgroepen uit de hele wereld denken hierover na omdat dit probleem zich in vele landen stelt. Zolang men de industrie laat beslissen over de prijs, blijft dit probleem bestaan. Europa moet hier zijn macht gebruiken in de onderhandelingen met de farmaceutische industrie.

De heer Cees Smit verwijst naar de economische en financiële crisis, die ertoe heeft geleid dat IJsland en Ierland fors hebben moeten besparen. Zij dienden 40 tot 60 % te besparen op hun

médicaments entre, par exemple, la Belgique et les Pays-Bas. Il existe certes une expertise suffisante dans les deux pays mais il faut d'abord définir ses objectifs et non pas identifier ce qui empêche de les réaliser, compte tenu des différences de culture dans les deux pays. Il faut reconsidérer le mode de fonctionnement habituel. On effectue du bon travail dans le cadre de certains projets européens, comme Eunetha, qui pourraient reprendre cela mais on observe dans les pays européens une certaine réticence. Pourtant, les décisions pourraient ainsi être prises plus rapidement et des économies pourraient être réalisées.

L'orateur confirme que les patients disposent de trop peu de critères pour pouvoir déterminer si un médicament est remboursé ou non. S'il existe un médicament d'un coût de 40.000 euros pour lequel l'on demande 70.000 euros, et qu'il s'avère très efficace, il est souvent approuvé. Là où des économies peuvent être réalisées, c'est lorsque l'efficacité d'un médicament est trop restreinte compte tenu des moyens disponibles. Il faut faire une distinction entre le court terme - quelques années – et le long terme. À court terme, il y a d'autres moyens que le pacte conclu entre le ministre belge de la Santé publique et l'industrie pharmaceutique. D'autres économies sont possibles. Mais le problème fondamental ne s'en trouve pas résolu pour autant. Il faudrait prendre en considération l'ensemble des investissements consacrés sous la forme de fonds publics et privés à la recherche sur les médicaments pour déterminer le coût final du médicament commercialisé. L'industrie ne prend en effet pas en charge la totalité des coûts.

Il existe des modèles créatifs pour mieux contrôler à terme les nouveaux modèles mais ce n'est pas simple. Des groupes d'experts du monde entier réfléchissent à la question dans la mesure où le problème se pose dans de nombreux pays. Tant qu'on laissera l'industrie décider des prix, le problème subsistera. L'Europe doit faire jouer sa puissance dans le cadre des négociations avec l'industrie pharmaceutique.

M. Cees Smit se réfère à la crise économique et financière qui a conduit l'Islande et l'Irlande à réaliser d'importantes économies. Elles ont dû économiser 40 à 60 % du budget qu'elles consacraient

geneesmiddelenbudget. De overheid heeft het toen aan de gezamenlijke industrie overgelaten om besparingen te vinden in de geneesmiddelensector en dat heeft gewerkt. Andere landen kunnen ook samen met de industrie bezuinigingen realiseren in het geneesmiddelenbudget, inclusief de weesgeneesmiddelen.

Ook bij de onderhandelingen over de prijzen, moeten de overheid over “wisselgeld” beschikken in de vorm van een versoepeling van de regelgeving. In de prijs van een geneesmiddel zitten immers 40 tot 80 % van kosten van het geheel van klinisch onderzoek, geneesmiddeltoelating en de vergunningsprocedure. Vandaag gebeurt dit in 27 verschillende landen op 27 verschillende manieren. Wanneer dit op één manier in heel Europa zou kunnen gebeuren, is er heel wat “wisselgeld” om de prijzen naar beneden te doen gaan. Daarin ligt de macht van de overheden. Spreker betreurt het ten zeerste dat dit punt in de hoorzittingen in Nederland niet aan de orde is gekomen. De Europese Commissie zou hierin leidinggevend moeten zijn; nationale parlementen kunnen dit stimuleren.

Een prijsgrens van 80 000 euro is volgens spreker voor de patiënt erg onhandig omdat men dan patiëntengroepen tegen mekaar opzet. De ene zeldzame ziekte is echter niet zieliger dan de andere: voor de patiënt is elke ziekte gelijk en elke patiënt moet gelijk behandeld worden. Spelen met sentimenten is hier overbodig.

Mevrouw Van den Bergh vraagt zich af wie er belang bij heeft dat lidstaten weigeren met mekaar samen te werken.

Professor Cassiman antwoordt dat enkel de overheid in de betrokken lidstaat hieruit een voordeel kan halen. Wellicht is men bang iets af te staan waarvoor men verantwoordelijk is.

Mevrouw Van Camp meent dat in België de mutualiteiten voor problemen zorgen. In tegenstelling tot in Nederland, waar de zorgverzekeraars beslissen over de terugbetaling, beslist in België de Commissie Terugbetaling Geneesmiddelen van het RIZIV, waarin de mutualiteiten vertegenwoordigd zijn, vaak tegen alle wetenschappelijk bewijs in welke geneesmiddelen al dan niet worden

aux médicaments. Les pouvoirs publics ont alors laissé à l'ensemble de l'industrie le soin de trouver des économies à réaliser dans le secteur des médicaments et cela a fonctionné. D'autres pays aussi ont réalisé avec l'industrie des économies dans le budget des médicaments, y compris les médicaments orphelins.

Lors de négociations sur les prix aussi, les pouvoirs publics doivent disposer de “monnaie d'échange” sous la forme d'un assouplissement de la réglementation. Le prix des médicaments comprend en effet 40 à 80 % des coûts de l'ensemble de la recherche clinique, des autorisations pour les médicaments et de la procédure d'approbation. Aujourd'hui, chacun des 27 États membres procède différemment. Si la procédure était identique partout en Europe, il y aurait de la “monnaie d'échange” pour faire baisser le prix. C'est là que réside la force des pouvoirs publics. L'orateur regrette au plus haut point que cet élément n'ait pas été abordé lors des auditions aux Pays-Bas. La Commission européenne devrait jouer à cet égard un rôle moteur, que les parlements nationaux peuvent stimuler.

Selon l'orateur, une limite de prix de 80.000 euro est très maladroite dans la mesure où l'on oppose ainsi des groupes de patients. Une maladie rare ne vaut pas plus qu'une autre: pour un patient, toutes les maladies se valent et chaque patient doit être traité de manière équitable. Il est superflu en l'espèce de jouer sur les sentiments.

Mme Van den Bergh se demande qui a intérêt à ce que les États membres refusent de coopérer.

Le professeur Cassiman répond que seuls les pouvoirs publics des États concernés peuvent y trouver un intérêt. Sans doute craignent-ils de céder une chose pour laquelle ils sont compétents.

Mme Van Camp estime que les mutualités constituent un problème en Belgique. À l'inverse de ce qui se passe aux Pays-Bas, où les assureurs de soins de santé décident du remboursement, c'est la Commission de remboursement des médicaments de l'INAMI, où siègent les mutualités, qui décide quels médicaments sont ou non remboursés, souvent à l'encontre de toute preuve scientifique.

terugbetaald. Spreekster pleit dan ook voor een meer onafhankelijk beslissingsorgaan waarin wetenschappers zetelen in plaats van verzekeraars die vaak andere dan wetenschappelijke belangen hebben. Dit zou het ook makkelijker maken een Europese eenmaking op dit punt te realiseren.

De heer Smit meent dat een verklaring kan zijn dat gezondheidszorg onder de verantwoordelijkheid van de lidstaten valt en niet van de Europese Commissie. Naast het BeneluxA project zijn er nog 7 andere regionale verbanden actief in dit domein. Het zou interessant zijn indien deze initiatieven aan mekaar zouden gekoppeld worden. Daarnaast wijst spreker erop dat de heersende anti-Europese stemming in vele landen de mogelijkheid ontnemt om een ruimere Europese integratie op dit vlak te bereiken.

IV. BESPREKING IN DE COMMISSIE SOCIALE ZAKEN, VOLKSGEZONDHEID, ONDERWIJS EN SPORT

A. Vergadering van 9 maart 2018.

Mevrouw Vermeulen verwijst naar het voorstel van aanbeveling van mevrouw Van Camp en stelt voor om op basis daarvan verder te werken en opmerkingen te geven met het oog op de aanpassing van dit voorstel (bijlage 1).

De heer Van Kesteren verklaart voorstander te zijn van samenwerking met andere landen op het punt van de geneesmiddelen. Nederland is op zich te klein om een vuist te maken tegen de machtige farmaceutische industrie. Gelukkig bestaat er reeds een samenwerkingsverband op Benelux niveau, waarbij Oostenrijk zich heeft aangesloten, en waarbij ook Ierland zich zou willen aansluiten. Het initiatief moet, wat hem betreft, niet bij de Europese Unie liggen omdat Frankrijk en Duitsland daarin een allesbepalende rol spelen en de neiging hebben om hun eigen farmaceutische bedrijven te beschermen. Daarom pleit spreker ervoor om met elk land afzonderlijk afspraken te maken.

Mevrouw Van den Berg is het eens met de vorige spreker dat er niet moet worden gewacht op

Elle plaide dès lors pour la création d'un organe décisionnel plus indépendant où des scientifiques se substitueraient aux assureurs qui ont souvent des intérêts autres que scientifiques. Cela faciliterait également l'unification européenne dans ce domaine.

M. Smit estime que cela peut expliquer pourquoi les soins de santé relèvent de la responsabilité des États membres et non de la Commission européenne. Outre le projet BeneluxA, sept autres structures régionales sont actives dans ce domaine. Il serait intéressant de les relier entre elles. L'orateur souligne par ailleurs que le climat antieuropéen qui règne dans de nombreux pays empêche une intégration européenne plus poussée dans ce domaine.

IV. DISCUSSION AU SEIN DE LA COMMISSION DES AFFAIRES SOCIALES, DE LA SANTÉ PUBLIQUE, DE L'ENSEIGNEMENT ET DES SPORTS

A. Réunion du 9 mars 2018.

Se référant à la proposition de recommandation de Mme Van Camp, Mme Vermeulen propose de poursuivre les travaux sur cette base et de formuler des observations en vue de l'aménagement de la proposition (annexe 1).

M. Van Kesteren se dit partisan de la coopération avec d'autres pays dans le domaine des médicaments orphelins. Les Pays-Bas sont trop petits pour pouvoir s'opposer à la puissante industrie pharmaceutique. Fort heureusement, il existe déjà au niveau du Benelux une structure de coopération à laquelle s'est jointe l'Autriche et à laquelle l'Irlande souhaite également adhérer. Il estime que l'initiative ne doit pas se situer au niveau de l'Union européenne parce que la France et l'Allemagne y jouent un rôle prépondérant et ont tendance à protéger leurs propres entreprises pharmaceutiques. L'orateur préconise dès lors de conclure des accords séparés avec chaque pays.

Mme Van den Berg se rallie aux propos de l'orateur précédent et considère qu'il ne faut pas

de Europese Unie maar dat eerst moet worden nagegaan wat op Benelux niveau kan gebeuren.

Het verzoek dat in het voorstel van aanbeveling wordt gericht aan de regeringen om de financiële stimulatie van academische, niet-commerciële, klinische studies voor zeldzame ziekten te realiseren is voor spreekster niet helemaal duidelijk. In Nederland bestaat vandaag veel discussie over de wijze waarop de geneesmiddelen op de markt moeten worden gebracht maar dat de overheid geld moet stoppen in de financiering van geneesmiddelen is geenszins aan de orde. Wel moet in kaart worden gebracht hoeveel overheidsgeld naar fundamenteel wetenschappelijk onderzoek is gegaan, zodat men een beter zicht krijgt op de prijsontwikkeling.

Ook bij het verzoek om creatief na te denken over een alternatief financieringssysteem had mevrouw Van den Berg enige toelichting gewenst.

Tenslotte is het ook onduidelijk wat precies wordt bedoeld met het verzoek om een onafhankelijk beslissingsorgaan voor de terugbetaling op te richten in België waarin wetenschappers zetelen die in alle onafhankelijkheid en tegen betaling kunnen beslissen welke geneesmiddelen al dan niet worden terugbetaald.

De heer Devriendt is van oordeel dat naast enkele inhoudelijke elementen, ook een taalkundige verbetering van het voorstel van aanbeveling nodig is.

Mevrouw Vermeulen is het hiermee eens. Het voorstel van aanbeveling heeft geenszins de intentie om de farmaceutische lobby te ondersteunen en wil precies de niet-commerciële academische studies stimuleren in onderzoekscentra en universiteiten.

Mevrouw Van den Berg herhaalt dat het niet de bedoeling kan zijn dat de overheid geld stopt in de geneesmiddelen industrie.

Mevrouw Vermeulen repliceert dat dit ook niet uit de tekst van het voorstel blijkt. Het gaat om de wijze waarop de beschikbare overheidsmiddelen worden aangewend.

attendre l'Union européenne mais qu'il faut voir ce qui peut être réalisé au niveau du Benelux.

La demande adressée dans la proposition de recommandation aux gouvernements d'encourager la réalisation d'études universitaires, non commerciales et cliniques sur les maladies rares n'est pas parfaitement claire aux yeux de l'oratrice. Aux Pays-Bas, la manière dont les médicaments doivent être commercialisés fait l'objets de nombreuses discussions mais la nécessité pour les pouvoirs publics de consacrer de l'argent au financement des médicaments n'est absolument pas à l'ordre du jour. En revanche, il faut savoir quels moyens publics ont été consacrés à la recherche scientifique fondamentale afin de mieux appréhender la fixation des prix.

Mme Van den Berg aurait également souhaité obtenir des précisions concernant la demande relative à une réflexion créative sur un système de financement alternatif.

Enfin, on ne voit pas clairement non plus l'objet précis de la demande de créer en Belgique un organe décisionnel indépendant pour le remboursement, où siègeraient des scientifiques qui pourraient décider, en toute indépendance et contre rémunération, quels médicaments sont ou non remboursés.

M. Devriendt estime qu'outre quelques éléments relatifs au contenu, il faut également améliorer la recommandation sur le plan linguistique.

Mme Vermeulen partage cet avis. La proposition de recommandation ne vise nullement à soutenir le lobby pharmaceutique et tend précisément à stimuler la réalisation d'études universitaires non commerciales au niveau des centres de recherche et des universités.

Mme Van den Berg répète qu'il ne saurait être question pour les pouvoirs publics d'investir de l'argent dans l'industrie des médicaments.

Mme Vermeulen réplique que le texte ne va nullement dans ce sens. Il s'agit de la manière d'utiliser l'argent public disponible.

Mevrouw Van den Berg pleit voor een andere redactie van de tekst indien dit de bedoeling is.

De heer Van Kesteren pleit voor een sterke Benelux samenwerking als antwoord op de sterke Franse en Duitse farmaceutische industrie.

Mevrouw Vermeulen suggereert dat een amendement in die zin wordt ingediend.

Mevrouw Detiège heeft enkele fundamentele bedenkingen bij het voorstel van aanbeveling.

Er staan enkele zeer goede elementen in, bijvoorbeeld de voorwaarden inzake een redelijke prijsstelling. Al te vaak stellen de farmaceutische bedrijven hun prijzen zo hoog dat de overheid het bewuste geneesmiddel onmogelijk kan terugbetalen. Bedrijven, die vaak hoge winstmarges realiseren, gebruiken dan vaak erg jonge kinderen in de media om toch de terugbetaling te forceren. De drie Benelux landen hebben een goed stelsel van gezondheidszorg en kunnen samenwerken om zo de prijs naar beneden toe te herzien omdat een grotere markt kan worden gevormd.

Spreekster heeft het echter moeilijk met het voorstel om hiervoor een extern beslissingsorgaan in het leven te roepen. Hoe gaat men dit in de praktijk realiseren? Kan men dergelijke beslissingen enkel aan wetenschappers overlaten? Ook wetenschappers zijn niet steeds onafhankelijk, wel integendeel: zij laten hun conclusies vaak beïnvloeden door de ene of de andere belangengroep, zo leert de ervaring.

Hoewel zij de goede bedoelingen van de rapporteur begrijpt om tot een grotere markt te komen, maar de beslissingen over terugbetaling inzake geneesmiddelen kan men niet enkel van wetenschappers laten afhangen. Hierbij moeten ook andere experten, bijvoorbeeld financiële experten worden bij betrokken. Ook de mutualiteiten hebben een grote expertise ter zake en moeten betrokken blijven bij de besluitvorming. Men moet tot een globaal advies aan de regeringen komen dat gestoeld is op wetenschappelijke bevindingen maar niet

Mme Van den Berg préconise de modifier la rédaction du texte si tel est l'objectif.

M. Van Kesteren plaide pour une coopération Benelux forte en réponse aux puissantes industries pharmaceutiques française et allemande.

Mme Vermeulen suggère de présenter d'un amendement en ce sens.

Mme Detiège a quelques objections à formuler à propos de la proposition de recommandation.

Le texte comprend d'excellents éléments, comme les conditions relatives à une fixation des prix raisonnables. Trop souvent, les entreprises pharmaceutiques fixent leurs prix à un niveau tellement élevé que les pouvoirs publics sont dans l'impossibilité de rembourser le médicament concerné. Les entreprises, qui réalisent souvent des marges bénéficiaires importantes, recourent souvent à l'image de très jeunes enfants dans les médias pour forcer le remboursement. Les trois Pays du Benelux sont dotés d'un système de soins de santé performant et peuvent coopérer pour revoir les prix à la baisse dès lors qu'un marché plus vaste peut ainsi être constitué.

La proposition de créer à cet effet un organe décisionnel externe constitue toutefois un problème pour l'oratrice. Comment va-t-on réaliser cela dans la pratique? Peut-on laisser de telles décisions aux seuls scientifiques? Les scientifiques ne sont pas toujours indépendants non plus, bien au contraire. L'expérience a montré qu'ils se laissent souvent influencer dans leurs décisions par l'un ou l'autre groupe d'intérêts.

Bien qu'elle comprenne les bonnes intentions de la rapportrice concernant la création d'un marché plus étendu, on ne peut pas faire dépendre les décisions relatives au remboursement de médicaments des seuls scientifiques. Il faut y associer d'autres experts, par exemple financiers. Les mutualités aussi possèdent une grande expertise en la matière et doivent continuer à participer au processus décisionnel. Il faut pouvoir présenter aux gouvernements un avis global, fondé sur des constatations scientifiques, mais pas seulement. L'on risque

enkel daarop. In het andere geval dreigt een doos van Pandora te worden geopend. Deze discussie is fundamenteel: ze gaat immers over de wijze waarop een geneesmiddelenbeleid wordt ingevuld.

Mevrouw Van Camp is het eens met de opmerking in verband met het misbruik van kinderen dat door farmaceutische industrie wordt gemaakt om de overheid te dwingen een geneesmiddel terugbetaald te krijgen.

Daarentegen is zij het niet eens met de kritiek op het voorstel om een onafhankelijk orgaan op te richten dat beslist over de terugbetaling. Ook in België zetelen in de Commissie Terugbetaling Geneesmiddelen niet enkel wetenschappers maar ook gezondheidseconomen. De suggestie, om een onafhankelijk beslissingsorgaan voor de terugbetaling op te richten, is het resultaat van de hoorzittingen waarin verschillende experts hebben gepleit voor een “*evidence based*” aanpak. Vandaag is het immers heel moeilijk om de bestaande structuren met mekaar te verzoenen in het BeneluxA project, zo is gebleken.

Een gezamenlijk orgaan dat op basis van wetenschappelijke gegevens een beslissing neemt is dan ook een noodzaak. Vandaag maken in België de mutualiteiten, die zoals de zorgverzekeraars de advocaat van de patiënten horen te zijn, immers allerlei berekeningen over de kosten/batenanalyse en over de prijszetting, terwijl dit helemaal hun taak niet is. Al te vaak trekken zij de kaart van hun eigen financiën. In Nederland is het gezondheidsbeleid helemaal anders gestructureerd. Volgens mevrouw Van Camp moet het belang van de patiënt steeds voorop staan.

Mevrouw Van den Berg meent dat eenieder hetzelfde doel nastreeft, met name iets doen aan de vaak al te hoge kost van weesgeneesmiddelen. Dit doel staat niet ter discussie, wel de wijze waarop dit moet worden bereikt. Deze discussie kan niet snel worden afgehandeld en moet op een rustige wijze worden gevoerd, al was het maar omdat blijkt dat er te weinig kennis is van de verschillende systemen in de verschillende landen. In Nederland kijkt het Nederlands Zorginstituut niet enkel naar de toegevoegde medische waarde van geneesmiddelen maar ook naar de prijs.

d'ouvrir une boîte de pandore. La discussion est fondamentale car elle porte en effet sur le contenu de la politique en matière de médicaments.

Mme Van Camp est d'accord avec l'observation concernant l'utilisation abusive de l'image d'enfants par l'industrie pharmaceutique pour contraindre les pouvoirs publics au remboursement de médicaments.

En revanche, elle ne partage pas la critique sur la proposition de créer un organe indépendant appelé à décider du remboursement. En Belgique, des scientifiques mais également des économistes spécialisés en soins de santé siègent au sein de la Commission de remboursement des médicaments. La suggestion de créer un organe décisionnel indépendant pour le remboursement est le fruit des auditions au cours desquelles un certain nombre d'experts ont plaidé pour une approche du type “*evidence based*”. Il s'est avéré qu'il est en effet très difficile aujourd'hui de concilier les structures existantes au sein du projet BeneluxA.

Un organe commun amené à prendre des décisions sur la base de données scientifique constitue dès lors une nécessité. Aujourd'hui, en Belgique, les mutualités qui, comme les assureurs soins de santé, se doivent d'être les avocats des patients, se livrent à toutes sortes de calculs à propos de l'analyse des coûts/bénéfice et de la fixation des prix alors que cela ne relève pas du tout de leur mission. Trop souvent, elles privilégient leurs propres finances. Aux Pays-Bas, la politique en matière de santé est structurée de manière tout à fait différente. Selon Mme Van Camp, l'intérêt du patient doit toujours primer.

Mme Van den Berg estime que chacun poursuit le même objectif, à savoir résoudre le problème du coût souvent trop élevé des médicaments orphelins. Ce n'est pas l'objectif qui est mis en cause mais la manière de le réaliser. Cette discussion ne pourra pas être clôturée rapidement et doit être menée tranquillement, ne fût-ce que parce qu'il apparaît que l'on connaît insuffisamment les différents systèmes dans les différents pays. Aux Pays-Bas, le *Zorginstituut* néerlandais ne tient pas seulement compte de la valeur ajoutée médicale mais également du prix.

Als men farmaceutische bedrijven zomaar zou volgen, zou dit kunnen betekenen dat de zorgverzekering voor elke patiënt 7 tot 8 euro per jaar duurder zou worden om 500 patiënten te helpen met één medicijn. Dit is niet haalbaar en hopelijk realiseren de farmaceutische bedrijven ook een dergelijke korte termijnstrategie niet wenselijk is op lange termijn. Vanzelfsprekend moeten zij in de mogelijkheid zijn om hun kosten inzake onderzoek en ontwikkeling terug te verdienen.

Spreekster stelt dan ook voor dat eenieder in de komende weken extra informatie kan inwinnen en uitwisselen dit punt op een volgende commissievergadering te agenderen.

Mevrouw Detiège meent dat de essentie is dat de prijszetting van weesgeneesmiddelen beter dan vandaag kan geschieden. De enige optie hiervoor is om een overeenkomst te maken tussen de verschillende landen met het oog op een betere samenwerking. De vraag is hoe dit dient te gebeuren.

Spreekster heeft zelf 10 jaar als expert gewerkt voor de Commissie Terugbetaling Geneesmiddelen en kent deze sector van binnen uit. De wetenschappers die deel uitmaken van deze commissie hebben een deontologische code moeten ondertekenen omdat bleek dat zij te veel onder druk stonden van sommige bedrijven. Omdat het over veel geld gaat, is het immers van belang dat de betrokken wetenschappers hun werk goed doen.

Als de opmerkingen van mevrouw Van Camp over de nefaste rol van de mutualiteiten worden gedragen door de hele Christelijke fractie, stelt mevrouw Detiège zich ernstige vragen. Er bestaat immers ook een Christelijke Mutualiteit in België die een zeer grote expertise ter zake heeft opgebouwd en een tegengewicht bieden tegenover de farmaceutische industrie en aldus de patiënten zeer goed verdedigen. Een debat over de rol van de mutualiteiten heeft volgens spreekster geen plaats in een discussie die gaat over een betere samenwerking tussen de lidstaten van de Benelux, maar moet in eigen land worden gevoerd. Indien dit element in de aanbeveling wordt weerhouden, zal mevrouw Detiège er niet mee instemmen.

Suivre aveuglément les entreprises pharmaceutiques signifierait que les coûts des soins de santé augmenteraient de 7 à 8 euros par an par patient pour pouvoir aider 500 patients par l'administration d'un seul médicament. Ce n'est pas tenable et il faut espérer que les entreprises pharmaceutiques réaliseront elles aussi qu'une telle stratégie à courte vue n'est pas souhaitable à long terme. Bien évidemment, elles doivent pouvoir récupérer leurs dépenses en matière de recherche et de développement.

L'oratrice suggère que chacun recueille et échange des informations complémentaires sur cette matière dans les semaines à venir et que le point soit porté à l'ordre du jour d'une prochaine réunion de commission.

Mme Detiège considère que l'essentiel est que la fixation des prix des médicaments orphelins pourrait être améliorée. La seule option à cet égard consiste à conclure un accord entre les différents pays en vue d'une meilleure coopération. La question est de savoir comment procéder.

L'oratrice a elle-même travaillé pendant dix ans comme expert pour la Commission de remboursement des médicaments et connaît le secteur de l'intérieur. Les scientifiques qui font partie de cette commission ont dû signer un code de déontologie parce qu'il s'est avéré qu'ils subissent trop la pression exercée par certaines entreprises. Comme des montants très importants sont en jeu, il est important que les scientifiques concernés fassent correctement leur travail.

Si l'ensemble du groupe chrétien partage l'opinion de Mme Van Camp sur le rôle néfaste des Mutualités, alors Mme Detiège se pose de sérieuses questions. Il existe en effet aussi en Belgique une mutualité chrétienne qui a acquis dans le domaine une grande expertise, fait contrepoids à l'industrie pharmaceutique et défend ainsi très efficacement les patients. Le débat sur le rôle des mutualités n'a pas sa place dans une discussion sur l'amélioration de la coopération entre les États membres du Benelux mais doit être mené dans les différents pays. Si cet élément est maintenu dans le texte de la recommandation, Mme Detiège n'appuiera pas cette dernière.

Mevrouw Van Camp repliceert dat zij nooit heeft beweerd dat de mutualiteiten hun werk niet goed zouden doen. Enkel is uit de hoorzittingen gebleken dat de rol van de mutualiteiten in de hele procedure mag herbekeken worden. Dat sommige mutualiteiten beslissingen sturen in functie van hun patiëntenbestand, is iets wat spreekster niet enkel in het Benelux Parlement maar ook in het Belgische federale parlement zegt.

Zij is het ermee eens dat men niet moet overhaasten en dat dit punt opnieuw op de agenda komt tijdens een volgende commissievergadering. Dit laat toe om extra informatie in te winnen maar mevrouw Van Camp wijst er wel op dat de vertegenwoordigers uit de verschillende landen aan bod zijn gekomen tijdens de hoorzittingen.

Mevrouw Van Camp hoopt zoveel als mogelijk rekening te kunnen houden de opmerkingen en amendementen die door de commissieleden zullen worden ingediend, in functie van de inhoud ervan.

De heer Pirlot herinnert eraan dat het de bedoeling is om in de mate van het mogelijke tot een consensus te komen. Hij stelt voor dat eventuele amendementen of opmerkingen worden meegeedeeld aan het commissiesecretariaat.

B. Vergadering van 20 april 2018

De heer Pirlot herinnert eraan dat de plenaire vergadering van 24 maart 2018 heeft vastgesteld dat geen draagvlak kon worden gevonden voor het voorstel van aanbeveling van de beide rapporteurs. De kritiek was vooral dat de aanbeveling zich al te veel richtte op de Belgische situatie. Ook de rol van de ziekenfondsen was een punt van discussie. De plenaire vergadering heeft beslist dat de commissie een nieuwe werkmethode zou uitwerken om alsnog een voorstel van aanbeveling uit te werken die tijdens de plenaire vergadering van 15-16 juni 2018 kan worden voorgelegd.

Mevrouw Van Camp verklaart dat de commissie een procedure had voorgesteld volgens dewelke amendementen kunnen worden ingediend op het voorstel van aanbeveling dat zij had opgesteld. Zij staat nog steeds open voor amendering van de bestaande tekst, maar zelf zal mevrouw Van Camp geen nieuwe tekst voorstellen. Het bestaande

Mme Van Camp réplique qu'elle n'a jamais affirmé que les mutualités ne font pas correctement leur travail. Mais les auditions ont montré que le rôle des mutualités dans l'ensemble de la procédure doit être reconsidéré. L'oratrice soutient au Parlement Benelux comme au parlement fédéral belge que certaines mutuelles idées orientent des décisions en fonction de leurs patients.

Elle considère également qu'il ne faut pas se précipiter et est d'accord pour que ce point soit à nouveau porté à l'ordre du jour d'une prochaine réunion de commission. Cela permettra de recueillir des informations supplémentaires mais Mme Van Camp rappelle que les représentants des différents pays ont été entendus à l'occasion des auditions.

Mme Van Camp espère pouvoir tenir compte autant que possible des observations et des amendements que formuleront les commissaires, en fonction de leur contenu.

M. Pirlot rappelle que l'objectif est d'en arriver, dans toute la mesure du possible, à un consensus. Il propose que les éventuels amendement ou propositions soient communiqués au secrétariat de la commission.

B. Réunion du 20 avril 2018

M. Pirlot rappelle que l'assemblée plénière du 24 mars 2018 a constaté l'impossibilité de dégager un soutien en faveur de la proposition de recommandation des rapportrices. Les critiques portaient essentiellement sur le fait que la recommandation était trop axée sur la situation belge. De même, le rôle des mutualités a prêté à discussion. L'assemblée plénière a décidé que la commission devait développer une nouvelle méthode de travail et rédiger une proposition de recommandation qui pourra être soumise à l'assemblée plénière des 15-16 juin 2018.

Mme Van Camp déclare que la commission avait proposé une procédure permettant de présenter des amendements à sa proposition de recommandation. Elle est toujours disposée à accepter l'amendement du texte mais elle-même n'en rédigera pas de nouveau. La proposition existante est en effet fondée sur les auditions qui ont eu lieu et il

voorstel is immers gebaseerd op de hoorzittingen die hebben plaatsgevonden en het zou van weinig respect getuigen voor de experts om hun bevindingen te negeren.

De heer Pirlot repliceert dat de plenaire vergadering duidelijk heeft beslist dat er geen draagvlak bestaat voor het tekstvoorstel van de rapporteurs en dat een andere werkmethode dient te worden gevonden dan het louter indienen van amendementen op de door de rapporteurs voorgestelde tekst.

Mevrouw Van den Berg is het hiermee eens. Er moet een nieuwe tekst worden voorgesteld. Het doel is nog steeds een samenwerking te realiseren tussen de Benelux landen op het vlak van de weesgeneesmiddelen. Enkel de werkwijze moet worden herbekeken. Vandaag reeds wordt door de Benelux landen en Oostenrijk – en wellicht ook binnenkort Ierland - samen onderhandeld over de prijs van de weesgeneesmiddelen. Dit hangt ook samen met de samenwerking op het punt van de octrooien.

Een tweede element is de “*health technology assessment*” dat door de Europese ministers van Volksgezondheid wordt besproken. Het lijkt wenselijk dat de Benelux landen samen de criteria zouden opstellen waaraan een “*health technology assessment*” moet voldoen. Er moeten procesafspraken worden gemaakt over de doelen die de Benelux landen samen willen bereiken.

Mevrouw Van den Berg is graag bereid om een tekstvoorstel uit te werken.

Mevrouw Vermeulen stelt voor dat deze tekst eerst aan beide rapporteurs wordt voorgelegd alvorens hij in de commissie wordt besproken. Het tekstvoorstel van de rapporteurs kan als basis dienen voor een nieuwe tekst.

Mevrouw Van den Berg antwoordt bevestigend.

C. Vergadering van 18 mei 2018

De heer Pirlot verwijst naar het voorstel van aanbeveling dat werd opgesteld door mevrouw Van

serait irrespectueux à l'égard des experts d'ignorer ce qu'ils ont dit.

M. Pirlot répond que l'assemblée plénière a clairement constaté qu'il n'y a pas de soutien en faveur de la proposition de texte des rapportrices et qu'il faut opter pour une méthode de travail qui ne se limite pas à la présentation d'amendements au texte proposé par les rapportrices.

Mme Van den Berg se rallie à ces propos. Il faut proposer un nouveau texte. L'objectif est et reste la coopération entre les pays du Benelux dans le domaine des médicaments orphelins. Seule la méthodologie doit être reconsidérée. Aujourd'hui déjà, les pays du Benelux et l'Autriche – et bientôt sans doute aussi l'Irlande – négocient ensemble à propos du prix des médicaments orphelins. Cela va aussi de pair avec la coopération dans le domaine des brevets.

Un deuxième élément est le “*health technology assessment*” dont discutent les ministres européens de la Santé publique. Il semble souhaitable que les pays du Benelux définissent ensemble les critères auxquels doivent satisfaire un “*health technology assessment*”.

Mme Van den Berg est disposée à rédiger une proposition de texte.

Mme Vermeulen propose que ce texte soit d'abord soumis aux rapportrices avant d'être discuté en commission. La proposition de texte des rapportrices peut servir de base à un nouveau texte.

Mme Van den Berg répond par l'affirmative.

C. Réunion du 18 mai 2018

M. Pirlot se réfère à la proposition de recommandation établie par Mme Van den Berg,

den Berg, conform de beslissing die hierover tijdens de vergadering van 20 april 2018 werd genomen (bijlage 2).

Mevrouw Van Camp verheugt zich over het initiatief van mevrouw Van den Berg en voor elke stap vooruit in de gezamenlijke aanpak van de problematiek van de weesgeneesmiddelen die op het niveau van de Benelux wordt genomen. Niettemin merkt zij op dat het tekstvoorstel van mevrouw Van den Berg erg verschilt van het voorstel dat zij eerder had neergelegd. Het nieuwe voorstel van aanbeveling gaat op verschillende punten minder ver.

In het eerste voorstel werden tal van elementen, die tijdens de beide hoorzittingen tot uiting zijn gekomen, opgenomen. Spreekster oordeelde dat dit nodig was om echt het verschil te maken voor de patiënten die op een doorbraak zitten te wachten. Zij betreurt dan ook dat het initiële voorstel werd uitgehold en uiteindelijk op verschillende vlakken niet verder geraakt dan “onderzoeken”. Op deze wijze zal de samenwerking, die vandaag vaak stroef verloopt, niet echt verbeteren en het Benelux Parlement mist hier de kans om richting te geven aan het beleid. Het voorstel van aanbeveling van mevrouw Van den Berg beperkt zich volgens spreekster te vaak tot praktische beslommeringen en fundamentele zaken, die tijdens de hoorzittingen naar boven zijn gekomen, komen te weinig aan bod.

Dit neemt niet weg dat mevrouw Van Camp het voorstel zal steunen. Elke stap in de goede richting kan immers enkel maar worden toegejuicht.

Mevrouw Van den Berg begrijpt de teleurstelling van mevrouw Van Camp maar wijst er tegelijk op dat de plenaire vergadering van het Benelux Parlement op 24 maart 2018 besloten heeft dat er onvoldoende draagvlak bestond voor de door haar voorgestelde tekst. Waar deze tekst de behoeften van de patiënten centraal stelde, moet men er toch ook rekening mee houden dat de Benelux landen de wens hebben geuit om zelf de beslissingsbevoegdheid te behouden over hun eigen budget inzake volksgezondheid. Het voorstel van aanbeveling dat zij heeft uitgewerkt wenst eveneens de samenwerking tussen de verschillende lidstaten te bevorderen maar houdt ook in het achterhoofd dat de weesgeneesmiddelen enorm duur zijn.

conformément à la décision intervenue à ce sujet lors de la réunion du 20 avril 2018 (annexe 2).

Mme Van Camp se félicite de l'initiative de Mme Van den Berg ainsi que de tout progrès réalisé dans l'approche commune du problème des médicaments orphelins au niveau du Benelux. Elle relève néanmoins que la proposition de texte de Mme Van den Berg diffère très largement de la proposition qu'elle avait elle-même déposée. La nouvelle proposition de recommandation va moins loin que la précédente sur un certain nombre de points.

La première proposition comporte de nombreux éléments qui avaient été mis en avant lors des auditions. L'oratrice avait estimé que c'était nécessaire pour véritablement faire la différence pour les patients en attente d'une véritable avancée. Elle regrette dès lors que la proposition initiale ait été vidée de sa substance et ne dépasse pas dans plusieurs domaines le stade de "l'examen". Dans ces conditions, la coopération souvent malaisée aujourd'hui ne s'améliorera pas vraiment et le Parlement Benelux laisse échapper en l'occurrence la possibilité de donner une orientation à la politique mise en œuvre. La proposition de recommandation de Mme Van den Berg se limite trop souvent, selon l'oratrice, à énumérer des entraves pratiques sans aborder suffisamment certains éléments fondamentaux mis en avant lors des auditions.

Cela n'empêchera pas Mme Van Camp d'appuyer la proposition. Toute avancée dans la bonne direction doit en effet être applaudie.

Mme Van den Berg comprend la déception de Mme Van Camp mais souligne que l'assemblée plénière du Parlement Benelux a estimé le 24 mars 2018 que son texte ne jouissait pas d'un soutien suffisant. Les besoins des patients étaient essentiels dans ce texte, mais il faut néanmoins tenir compte du fait que les pays du Benelux ont exprimé le souhait de conserver la compétence décisionnelle concernant leur propre budget de santé publique. La proposition de recommandation qu'elle a elle-même rédigée vise également à promouvoir la coopération entre les différents États membres, sans perdre de vue que les médicaments orphelins sont extrêmement onéreux.

Mevrouw Van den Berg benadrukt dat haar voorstel sterk steunt op het voorbereidende werk van de rapporteurs, en wenst deze hiervoor dan ook uitdrukkelijk te bedanken en te complimenteren.

Het voorstel van aanbeveling wordt aangenomen met eenparigheid van de uitgebrachte stemmen.

De rapporteurs,

Yoleen VAN CAMP
Sabine VERMEULEN

De voorzitter,

Sébastien PIRLOT

Bijlage 1: voorstel van aanbeveling van de dames Van Camp en Vermeulen van 9 maart 2018

Bijlage 2: voorstel van aanbeveling van mevrouw Van den Berg van 18 mei 2018

Mme Van den Berg souligne que sa proposition repose dans une large mesure sur le travail préparatoire des rapportrices qu'elle tient dès lors à remercier et à féliciter chaleureusement.

La proposition de recommandation est adoptée à l'unanimité.

Les rapportrices,

Yoleen VAN CAMP
Sabine VERMEULEN

Le président,

Sébastien PIRLOT

Annexe 1: proposition de recommandation de Mesdames Van Camp en Vermeulen du 9 mars 2018

Annexe 2: proposition de recommandation de Mme Van den Berg du 18 mai 2018

BIJLAGE 1

VOORSTEL VAN AANBEVELING

betreffende de weesgeneesmiddelen

van de dames Van Camp en Vermeulen
van 9 maart 2018

De Assemblee,

Gelet op

— Het Belgische regeerakkoord uit 2014 dat de intentie bevat om meer samen te werken met andere Europese lidstaten om samen oplossingen te vinden voor zeldzame ziekten en hen tegen de juiste prijs toegang te bieden tot geneesmiddelen;

— De *'letter of intent'* uit 2015 ondertekend door België en Nederland. In hetzelfde jaar heeft Luxemburg zich hierbij aangesloten. In 2016 heeft ook Oostenrijk zich aangesloten bij dit initiatief;

— Het KCE rapport 'Beleid voor zeldzame ziekten en Weesgeneesmiddelen' 2009;

— Het Europees *'reference network of rare diseases'*. Groepen van ziekenhuizen zijn gaan samenwerken over een bepaalde zeldzame ziekte;

— Het Nationaal Plan Zeldzame Ziekten, waardoor sinds 2016, de functie 'zeldzame ziekten' ter beschikking is in de Belgische universitaire ziekenhuizen. Er wordt gewerkt aan de netwerken 'Zeldzame Ziekten', zodat dat alle faciliteiten van universitaire en regionale ziekenhuizen in kaart worden gebracht en hierover overeenkomsten kunnen worden gesloten. Er werd heel wat vooruitgang geboekt, vooral aan Vlaamse kant, zodat patiënten met een zeldzame ziekte overal kunnen worden opgevangen;

— De aanbevelingen van de *European Working Group for Value Assessment and Funding Processes in Rare Diseases* (ORPH-VAL) opvolgen. ORP-VAL is een samenwerking tussen specialisten

ANNEXE 1

PROPOSITION DE RECOMMANDATION

relative aux médicaments orphelins

de Mmes Van Camp et Vermeulen du
9 mars 2018

L'Assemblée,

Vu

— L'accord de gouvernement belge de 2014 qui exprime l'intention de renforcer la coopération avec d'autres États membres européens afin de trouver des solutions aux maladies orphelines et permettre aux patients d'accéder à des médicaments à un juste prix;

— La *'letter of intent'* de 2015 signée par la Belgique et les Pays-Bas. Le Luxembourg s'y est joint au cours de la même année. L'Autriche s'est à son tour associée à l'initiative en 2016;

— Le rapport du KCE 'Politique relative aux maladies graves et aux médicaments orphelins' de 2009;

— Le *'reference network of rare diseases'* européen. Des groupes d'hôpitaux ont mis en place une collaboration à propos d'une maladie rare donnée;

— Le Plan national Maladies rares, à la suite duquel la fonction 'maladies rares' est disponible depuis 2016 dans les hôpitaux universitaires belges. Les réseaux 'Maladies rares' sont l'objet de travaux, de manière à réaliser une cartographie de l'ensemble des facilités dans les hôpitaux universitaires et régionaux et à permettre la conclusion de conventions à ce sujet. D'importants progrès ont été réalisés, particulièrement du côté flamand, de sorte que des patients affectés d'une maladie rare peuvent être accueillis partout;

— Le suivi des recommandations du *European Working Group for Value Assessment and Funding Processes in Rare Diseases* (ORPH-VAL). ORP-VAL est une collaboration entre spécialistes des

zeldzame ziektes, patiëntvertegenwoordigers, academici, vertegenwoordigers van HTA, politici, en vertegenwoordigers van de industrie;

— Het feit dat dankzij de verschillende werkgroepen van het Fonds Zeldzame Ziekten en Weesgeneesmiddelen van de Belgische Koning Boudewijnstichting er 42 concrete voorstellen tot maatregelen geformuleerd werden.

Vaststellende dat:

— Enerzijds het aantal patiënten en de markt voor weesgeneesmiddelen per definitie klein is en dat anderzijds die geneesmiddelen steeds meer gesofisticeerd worden wat steeds grotere ontwikkelingskosten met zich meebrengt. Hierdoor stijgt de kost voor weesgeneesmiddelen dan ook exponentieel;

— Er 7 000 à 8 000 verschillende ziekten zijn waarvan op het Europese niveau werd gedefinieerd dat er minder dan 1 op 2 000 personen aan lijden. Op zich is dit echter een enorme groep: ongeveer 8 % van de Europese bevolking. Op dit ogenblik bestaan er maar voor 10 % van deze zeldzame ziekten, d.w.z. 700 à 800, een behandeling;

— Het opkomen van ‘*salami pricing*’ waarbij door de opsplitsing van bepaalde aspecten van vaak voorkomende aandoeningen, zoals bijvoorbeeld longkanker, vele nieuwe weesgeneesmiddelen in het leven worden geroepen, gebaseerd op kleine genetische verschillen. Op die manier blijft het aantal patiënten dat op een bepaald geneesmiddel moet beroep doen klein en wordt het aantal weesgeneesmiddelen alsnog groter. Zo worden nieuwe therapieën onbetaalbaar. Vaak gaat het om behandelingen tegen kanker, zoals bijvoorbeeld immuuntherapie, waar het soms gaat om enkele honderden duizenden euro's. Ter vergelijking: in het Verenigd Koninkrijk werd een limiet van 100,000 £ als maximumprijs ingesteld;

— De kostprijs van weesgeneesmiddelen wordt bepaald in de grote machtscentra zoals Bazel of New York. Veelal worden innoverende therapieën dan ook ontwikkeld door biotech bedrijven, die het dan weer moeilijk hebben om hun product op de markt te brengen;

maladies rares, représentants de patients, universitaires, représentants HTA, politiciens et représentants de l'industrie;

— La formulation, grâce aux différents groupes de travail du Fonds maladies rares et médicaments orphelins de la Fondation Roi Baudouin, de 42 propositions concrètes de mesures.

Constatant que:

— D'une part, le nombre de patients et le marché des médicaments orphelins sont par définition réduits et que, d'autre part, ces médicaments sont de plus en plus sophistiqués, ce qui entraîne des coûts de développement toujours plus importants. Le coût des médicaments orphelins connaît dès lors une croissance exponentielle;

— Il existe 7 à 8 000 maladies différentes pour lesquelles il a été défini au niveau européen que moins de 1 personne sur 2 000 en souffre. Mais il ne s'agit pas moins là d'un groupe énorme qui représente environ 8 % de la population européenne. Il n'existe actuellement de traitement que pour 10 % de ces maladies rares, c'est-à-dire 700 à 800;

— On assiste à l'avènement du ‘*salami pricing*’, c'est-à-dire qu'en raison de la segmentation de certains aspects d'affections fréquentes, comme le cancer du poumon, de nombreux nouveaux médicaments sont créés sur la base de différences génétiques réduites. De la sorte, le nombre de patients qui doit recourir à un médicament donné reste réduit et le nombre de médicaments orphelins ne cesse de croître. De nouvelles thérapies deviennent ainsi financièrement inabordable. Il s'agit souvent de traitements du cancer, comme l'immunothérapie et il est parfois question de plusieurs centaines de milliers d'euros. À titre de comparaison : au Royaume-Uni, une limite de 100,000 £ a été fixée comme prix maximum;

— Le coût des médicaments orphelins est déterminé dans les grands centres de décision comme Bâle ou New York. Le plus souvent dès lors, les thérapies innovantes sont développées par des entreprises biotechniques qui éprouvent des difficultés à mettre leurs produits sur le marché;

— Dat er nog een aanzienlijk gat zit tussen de ‘*serious unmet medical needs*’ van zo’n 7 000 zeldzame ziekten waarvoor nog geen effectieve behandeling is en de ziekten waarvoor inmiddels wel een behandeling is;

— een therapie, die het fiat heeft gekregen van de Amerikaanse Food and Drugs Administration, vaak meer dan een jaar moet wachten op een goedkeuring door het Europese Geneesmiddelen Agentschap;

— De Europese expertisecentra (ERNS) goed samen werken in internationale onderzoeksprogramma’s (eRARE) en/of patiënten reizen naar deze centra of omgekeerd;

— Er veel expertise werd opgebouwd bij EUnetHTA (*European network for Health Technology Assessment*) op vlak van HTA.

— Samenwerking binnen het BeneluxA initiatief een enorme meerwaarde biedt en meer gewicht geeft aan de evaluaties die gebeuren en ook tot een beter gemeenschappelijk onderhandelingsstandpunt leidt;

— Sommige weesgeneesmiddelen worden wel in Nederland, maar niet in België terugbetaald. Vaak is dit voor patiënten onbegrijpelijk en voor parlementsleden, die de controle op de regering uitoefenen, moeilijk uit te leggen vermits de contracten met de farmaceutische bedrijven niet transparant zijn;

— In het kader van het pilootproject een eerste onderhandeling in 2017 afgerond werd, die weliswaar niet heeft geleid tot een terugbetaling van het betrokken geneesmiddel. Dit hoeft echter niet als een mislukking te worden beschouwd. Het feit dat een gemeenschappelijke onderhandeling al mogelijk is gebleken, is een overwinning op zich : dat enkele Europese landen rond de tafel zitten en tot een gemeenschappelijke conclusie kunnen komen is immers al een nieuwheid;

— In tegenstelling tot in Nederland, waar de zorgverzekeraars beslissen over de terugbetaling, beslist in België de Commissie Terugbetaling

— Il subsiste une fracture important entre les ‘*serious unmet medical needs*’ relatifs à quelque 7 000 maladies rares pour lesquelles il n’existe pas encore de traitement effectif et les maladies pour lesquelles un traitement est désormais disponible.

— Lorsqu’une thérapie a obtenu le feu vert de la Food and Drugs Administration, il faut encore souvent attendre plus d’un an l’approbation par l’Agence européenne des médicaments.

— Les centres européens d’expertise (ERNS) coopèrent efficacement dans le cadre de programmes internationaux de recherche (eRARE) et/ou que des patients se rendent dans ces centres ou inversement;

— Une importante expertise a été développée au niveau du EUnetHTA (*European network for Health Technology Assessment*) en matière de HTA.

— La coopération dans le cadre de l’initiative BeneluxA présente une énorme plus-value, confère davantage de poids aux évaluations qui sont faites et contribue à améliorer le point de vue commun défini dans le cadre de négociations;

— Certains médicaments orphelins sont remboursés aux Pays-Bas mais pas en Belgique. Il s’agit souvent d’un sujet d’incompréhension pour les patients et la situation est difficilement explicable pour les parlementaires qui exercent le contrôle sur les gouvernements puisque les contacts avec les entreprises pharmaceutiques ne sont pas transparents;

— Dans le cadre du projet pilote, une première négociation a été clôturée en 2017 sans donner lieu au remboursement du médicament concerné. Il ne faut toutefois pas y voir un échec. Le fait qu’une négociation commune ait été possible constitue en soi une victoire. Qu’un certain nombre de pays européens s’asseyent à une même table et aboutissent à des conclusions communes constitue en effet déjà un fait nouveau;

— En Belgique, à l’inverse de ce qui se passe aux Pays-Bas où le remboursement est décidé par les assureurs soins de santé, c’est la

Geneesmiddelen van het RIZIV, waarin de mutualiteiten vertegenwoordigd zijn, vaak tegen alle wetenschappelijk bewijs in welke geneesmiddelen al dan niet worden terugbetaald. Een meer onafhankelijk beslissingsorgaan waarin wetenschappers zetelen in plaats van verzekeraars die vaak andere dan wetenschappelijke belangen hebben zou het makkelijker maken een Europese eenmaking op dit punt te realiseren;

— Voor de terugbetaling van andere dan weesgeneesmiddelen men rekening houdt met kwalitatieve criteria, maar voor weesgeneesmiddelen niet. Er zijn te weinig criteria die ter beschikking worden gesteld aan de patiënten, om uit te maken of een geneesmiddel al dan niet wordt terugbetaald.

Verzoekt de regeringen

— Beslissingen betreffende prijszettingen en terugbetalingen te stoelen op de principes uiteengezet in de aanbevelingen van ORP-VAL;

— De HTA (*Health Technology Assessment*) beter op mekaar af te stemmen. Het is ook de bedoeling om tot een coherente aanpak te komen van de prijzen en terugbetalingen in de verschillende landen en van de ontwikkelingen in de farmaceutische sector. In concreto uitwerken wat doel was van beneluxA programma en barrières tussen landen wegwerken;

— Een betere afstemming van procedures in de verschillende deelnemende landen van BeneluxA project en voor een stapsgewijze en geplande uitbreiding naar andere landen dan diegene die vandaag reeds deelnemen;

— Op dit ogenblik bestaan er maar voor 10 % van deze zeldzame ziekten, d.w.z. 700 à 800, een behandeling. Er zijn dan ook meer inspanningen nodig om ervoor te zorgen dat een behandeling voor de andere 90 % mogelijk wordt en een einde te maken aan vaak schrijnende toestanden;

— De financiële stimulatie van academische, niet-commerciële, klinische studies voor zeldzame ziekten realiseren;

— Ook het feit dat nog geen verantwoord 'off-label' gebruik mogelijk is, is een ernstig obstakel.

Commission de remboursement des médicaments de l'INAMI, où siègent les mutualités, qui décide quels médicaments sont ou non remboursés, souvent au mépris des preuves scientifiques. Un organe décisionnel plus indépendant où siègeraient des scientifiques plutôt que des assureurs qui ont souvent à l'esprit des intérêts autres que scientifiques, rendrait plus facile l'unification européenne sur ce point;

— L'on tient compte de critères qualitatifs pour le remboursement de médicaments autres qu'orphelins mais pas pour les médicaments orphelins. Les patients ne disposent pas de suffisamment de critères pour pouvoir déterminer si un médicament est ou non remboursé.

Demande aux gouvernements

— De fonder les décisions relatives à la fixation des prix et au remboursement sur les principes exposés dans les recommandations d'ORP-VAL;

— De mieux harmoniser le HTA (*Health Technology Assessment*). L'on tend également à définir une approche plus cohérente des prix et des remboursements dans les différents pays et du développement dans le secteur pharmaceutique. Concrètement, il est demandé de réaliser ce que prévoyait le programme BeneluxA et de lever les barrières entre les pays;

— De mieux coordonner les procédures dans les différents pays participant au projet BeneluxA et de tendre vers un élargissement graduel et planifié à d'autres pays que les participants actuels;

— À ce jour, il n'existe de traitement que pour 10 % de ces maladies rares, c'est-à-dire 700 à 800. Il faut dès lors consentir davantage d'efforts pour faire en sorte qu'un traitement soit offert pour les autres 90 % et mettre un terme à des situations souvent pénibles;

— D'encourager financièrement la réalisation d'études universitaires, non commerciales et cliniques;

— Le fait aussi qu'aucun usage 'off-label' justifié ne soit encore possible constitue un obstacle

De Europese Unie moet hierin de nodige initiatieven nemen. Voorop lopen binnen BeneluxA;

— Creatief na te denken over een alternatief financieringssysteem. Dit moet het makkelijker maken om innoverende therapieën op de markt te brengen zonder afhankelijk te zijn van enkele grote machtscentra.

— Een therapie, die het fiat heeft gekregen van de Amerikaanse *Food and Drugs Administration*, vaak meer dan een jaar moet wachten op een goedkeuring door het Europese Geneesmiddelen Agentschap. Hier zou meer coördinatie moeten mogelijk zijn, in het belang van de patiënt;

— De discussie over de prijs van weesgeneesmiddelen maakt duidelijk dat de Europese Wet voor Zeldzame Ziekten evaluatie verdient. Dat in de voorbereiding van die Wet géén of te weinig aandacht is besteed aan het formuleren van voorwaarden voor een redelijke prijsstelling bij het verlenen van stimuleringsmaatregelen voor het ontwikkelen van weesgeneesmiddelen;

— Samenwerking versterken binnen Benelux (+ Oostenrijk) voor de vastlegging van de prijzen, dit moet de onderhandelingspositie van deze landen verstevigen;

— Binnen deze onderhandelingen over de prijzen, over 'wisselgeld' te beschikken in de vorm van een versoepeling van de regelgeving;

— Zoals voor de gewone geneesmiddelen, ook voor de terugbetaling van weesgeneesmiddelen rekening te houden met kwalitatieve criteria. De levenskwaliteit van de patiënt moet meegenomen worden in de beslissing.

— Een onafhankelijk beslissingsorgaan voor de terugbetaling op te richten in België naar Nederlands model. In dit orgaan zetelen niet langer de mutualiteiten maar wetenschappers die in alle onafhankelijkheid en tegen betaling kunnen beslissen welke geneesmiddelen al dan niet worden terugbetaald. Dit moet leiden tot een meer 'evidence based' manier van werken en zal de samenwerking

majeur. L'Union européenne doit prendre les initiatives requises en la matière. Un rôle moteur doit être joué dans le cadre du projet BeneluxA.

— De réfléchir de manière créative à un système de financement alternatif. Ce dernier doit faciliter la mise sur le marché de thérapies innovantes sans dépendre d'un petit nombre de grands centres décisionnels;

— Souvent, un an s'écoule avant qu'une thérapie qui a reçu le feu vert de la *Food and Drugs Administration* américaine n'obtienne l'approbation de l'Agence européenne des médicaments. Une meilleure coordination devrait être possible à ce niveau, dans l'intérêt du patient;

— La discussion au sujet du prix des médicaments orphelins montre clairement que la Loi européenne relative aux maladies rares mérite de faire l'objet d'une évaluation. Dans le cadre de la préparation de cette Loi, l'on n'a pas été attentif - ou pas assez - à la formulation de conditions pour une fixation de prix raisonnables lors de l'octroi d'incitants au développement de médicaments orphelins;

— De renforcer la coopération au sein du Benelux (+ Autriche) en matière de fixation des prix, ce qui doit renforcer la position de ces pays lors de négociations;

— De faire en sorte de disposer, dans le cadre de ces négociations sur les prix, d'une monnaie d'échange sous la forme d'un assouplissement de la réglementation;

— De tenir compte aussi pour le remboursement de médicaments orphelins, comme pour les médicaments ordinaires, de critères qualitatifs. La qualité de vie du patient doit intervenir dans la décision;

— De mettre en place en Belgique un organe décisionnel indépendant pour le remboursement, à l'image de ce qui existe aux Pays-Bas. Au sein de cet organe ne siègeraient plus les mutualités mais des scientifiques habilités à décider en toute indépendance et contre rémunération quels médicaments sont ou non remboursés. Cela doit déboucher sur un mode de de fonctionnement davantage

binnen de Benelux ten goede komen en kan als basis dienen om een Europese eenmaking op dit punt te realiseren.

'*evidence based*', qui bénéficiera à la coopération au sein du Benelux et pourra servir de base en vue de l'unification européenne dans ce domaine.

BIJLAGE 2**VOORSTEL VAN AANBEVELING**

betreffende de weesgeneesmiddelen

**van mevrouw Van den Berg van
18 mei 2018**

De Assemblee,

Overwegende dat

— De Europese Commissie 31 januari 2018 een voorstel (Verordening) heeft gedaan om de samenwerking inzake *Health Technology Assessment* te versterken (http://europa.eu/rapid/press-release_IP-18-486_en.htm);

— Het uitvoeren van het niet–klinische gedeelte van de HTA's een nationale aangelegenheid is en moet blijven, net als de vergoeding, kosteneffectiviteit, de inhoud en de omvang van het verzekerde pakket;

— Tijdens het Nederlands voorzitterschap van de Europese Raad er een onderzoek is voorgesteld naar beschermingsconstructies voor dure geneesmiddelen. De resultaten hiervan voor de zomer van 2018 worden verwacht (<https://www.zorgvisie.nl/europese-commissie-onderzoekt-farmaceutische-industrie/>);

— Het Belgische regeerakkoord uit 2014 dat de intentie bevat om meer samen te werken met andere Europese lidstaten om samen oplossingen te vinden voor zeldzame ziekten en hen tegen de juiste prijs toegang te bieden tot geneesmiddelen;

— Het Nederlandse regeerakkoord 2017-2021 de intentie bevat om op Europees niveau samen te werken op het gebied van de inkoop van geneesmiddelen, transparantie over kostenopbouw, innovatie en toegankelijkheid voor patiënten;

ANNEXE 2**PROPOSITION DE RECOMMANDATION**

relative aux médicaments orphelins

**de Mme Van den Berg du
18 mai 2018**

L'Assemblée,

Considérant que

— La Commission européenne a formulé le 31 janvier 2018 une proposition (Règlement) tendant à renforcer la coopération en matière de *Health Technology Assessment* (http://europa.eu/rapid/press-release_IP-18-486_en.htm);

— La mise en œuvre de la partie non clinique des HTA est une matière nationale et doit le rester, au même titre que l'indemnisation, l'efficacité des coûts, le contenu et le volume du paquet assuré;

— Sous la présidence néerlandaise du Conseil européen, il a été proposé de réaliser une étude sur les mécanismes de protection en matière de médicaments onéreux. Les résultats en sont attendus pour l'été 2018 (<https://www.zorgvisie.nl/europese-commissie-onderzoekt-farmaceutische-industrie/>);

— L'accord de gouvernement belge de 2014 prévoit d'intensifier la coopération avec d'autres États membres européens pour trouver ensemble des solutions pour les maladies rares et permettre aux patients d'avoir accès aux médicaments au juste prix;

— L'accord de gouvernement néerlandais pour la période 2017-2021 prévoit de coopérer au niveau européen dans le domaine de l'achat de médicaments, de la transparence au niveau de la fixation des prix, de l'innovation et de l'accessibilité pour les patients;

— In 2015 een *'letter of intent'* is ondertekend door België en Nederland tot nadere samenwerking. In hetzelfde jaar heeft Luxemburg zich hierbij aangesloten. In 2016 heeft ook Oostenrijk zich aangesloten bij dit initiatief, en later ook Ierland;

— Het Belgische KCE (Federaal Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg) het rapport 'Beleid voor zeldzame ziekten en Weesgeneesmiddelen' (<https://kce.fgov.be/nl/beleid-voor-zeldzame-ziekten-en-weesgeneesmiddelen> 2009) heeft uitgegeven;

— Er een *European Working Group for Value Assessment and Funding Processes in Rare Diseases* is (<http://www.orph-val.org/>): ORPH-VAL is een samenwerking tussen specialisten zeldzame ziektes, patiëntvertegenwoordigers, academici, vertegenwoordigers van HTA, politici, en vertegenwoordigers van de industrie.

Vaststellende dat:

— Het aantal patiënten en de markt voor weesgeneesmiddelen per definitie klein is en dat anderzijds die geneesmiddelen steeds meer gesofisticeerd worden wat steeds grotere ontwikkelingskosten met zich meebrengt. Hierdoor stijgen de kosten voor weesgeneesmiddelen dan ook exponentieel.

— Er 7 000 à 8 000 verschillende ziekten zijn waarvan op het Europese niveau werd gedefinieerd dat er minder dan 1 op 2 000 personen aan lijden. Op dit ogenblik bestaan er maar voor 10 % van deze zeldzame ziekten, d.w.z. 700 à 800, een behandeling.

— De Europese expertisecentra *European reference networks* (ERNs) (https://ec.europa.eu/health/rare_diseases/european_reference_networks_en) samenwerken in internationale onderzoeksprogramma's (eRARE) (<http://www.erare.eu/>)

— Er veel expertise werd opgebouwd bij EUnetHTA (*European network for Health Technology Assessment*) op het vlak van de HTA. (<https://www.zorginstituutnederland.nl/over-ons/programmas-en-samenwerkingsverbanden/>)

— Une déclaration d'intention a été signée en 2015 par la Belgique et les Pays-Bas en vue d'un renforcement de la coopération. Le Luxembourg s'y est joint au cours de la même année. L'Autriche à adhéré à son tour à l'initiative en 2016, suivie plus tard par l'Irlande;

— Le KCE belge (Centre fédéral belge d'expertise des soins de santé) a publié en 2009 le rapport 'Politique relative aux maladies graves et aux médicaments orphelins' (<https://kce.fgov.be/nl/beleid-voor-zeldzame-ziekten-en-weesgeneesmiddelen>);

— Il existe un *European Working Group for Value Assessment and Funding Processes in Rare Diseases* (<http://www.orph-val.org/>): ORPH-VAL est une structure de coopération qui réunit des spécialistes des maladies rares, des représentants des patients, des universitaires, des représentants des HTA, des représentants politiques et des représentants de l'industrie.

Constatant que:

— Le nombre de patients et le marché des médicaments orphelins est par définition restreint et que, par ailleurs, ces médicaments sont de plus en plus sophistiqués, ce qui entraîne des coûts de développement toujours plus élevés. Dans ces conditions, les coûts des médicaments orphelins connaissent une hausse exponentielle.

— Il y a de 7 000 à 8 000 maladies différentes à propos desquelles il a été déterminé au niveau européen qu'elles touchent moins de 1 personne sur 2 000. Il n'existe actuellement de traitement que pour 10 % de ces maladies rares, soit 700 à 800.

— Les centres européens d'expertise *European reference networks* (ERN) (https://ec.europa.eu/health/rare_diseases/european_reference_networks_en) coopèrent dans le cadre de programmes internationaux de recherche (eRARE) (<http://www.erare.eu/>)

— Une large expertise a été constituée au niveau de l'EUnetHTA (*European network for Health Technology Assessment*) dans le domaine des HTA. (<https://www.zorginstituutnederland.nl/over-ons/programmas-en-samenwerkingsverbanden/>)

coördinatie-european-network-for-health-technology-assessments-eunetha);

Verzoekt de regeringen

— Te onderzoeken of we binnen Beneluxverband kunnen afstemmen met betrekking tot de Europese Verordening HTA, zodat we sterker staan als het onderwerp op de Europese agenda komt;

— Te onderzoeken of er gebieden zijn waarin samen kan worden opgetrokken zodra het Europese onderzoek inzake beschermingsconstructies beschikbaar is;

— Te onderzoeken of de groep BeneluxA waarbij intussen ook Ierland is gevoegd, nog verder kan worden uitgebreid met andere landen zodat de onderhandelingspositie verder kan worden versterkt.

coördinatie-european-network-for-health-technology-assessments-eunetha);

Demande aux gouvernements

— D'examiner la possibilité d'une coordination dans le Benelux concernant le Règlement européen HTA, afin d'être plus forts lorsque le sujet sera inscrit à l'ordre du jour européen;

— De voir s'il existe des domaines dans lesquels il sera possible d'agir de concert dès que l'étude européenne sur les mécanismes de protection sera disponible;

— De voir si le groupe BeneluxA auquel l'Irlande s'est également jointe entre-temps peut encore être élargi à d'autres pays, de manière à renforcer encore la position de négociation.