

Zeldzame aandoeningen: Van *onbekend* naar *onder de aandacht*

Resultaten van de
Stuurgroep Weesgeneesmiddelen





MEER AANDACHT VOOR ZELDZAME AANDOENINGEN

'Je zal het maar hebben, een zeldzame ziekte'

Veel mensen hebben – zelf of in hun familie – te maken met een aandoening die weinig voorkomt, een zogenaemde zeldzame aandoening. Er zijn naar schatting 5000 tot 8000 verschillende zeldzame aandoeningen. Vermoed wordt dat in Europa tussen de 27 en 36 miljoen mensen een zeldzame aandoening hebben; dat is zo'n 6-8% van de bevolking. Voor de meeste van deze zeldzame ziekten bestaat nog geen therapie. Om de positie van mensen met een zeldzame aandoening te verbeteren en de ontwikkeling van de geneesmiddelen voor deze ziekten (zogenaemde weesgeneesmiddelen) te stimuleren is in 2001 de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen (WGM) ingesteld door de Minister van Volksgezondheid, Welzijn en Sport.

Doelstellingen Stuurgroep WGM

De Stuurgroep WGM heeft voor de periode 2008 – 2011 drie doelstellingen:

1. Verbeteren van hoogwaardige zorg voor mensen met een zeldzame aandoening in de vorm van preventie, diagnostiek en behandeling, en (para)medische begeleiding. Deze zorg wordt gecombineerd met onderzoek dat het hele traject van laboratoriumtafel tot ziekenhuisbed omvat. Daarnaast wordt de informatievoorziening over zorg en onderzoek verbeterd.
2. Stimuleren van de ontwikkeling van nieuwe therapieën, diagnostiek en innovatieve toepassingen voor zeldzame aandoeningen.
3. Verbeteren van de vergoeding en beschikbaarheid van weesgeneesmiddelen. Dit komt tot stand door een transparante, voorspelbare en bestendige structuur waardoor beschikbaarheid ook in de toekomst gegarandeerd blijft.



RESULTATEN VAN DE STUURGROEP WGM

Wat is er de afgelopen jaren bereikt en waar is de stuurgroep op dit moment mee bezig?

Op verschillende terreinen heeft de Stuurgroep WGM vooruitgang geboekt. Er zijn expertisecentra in oprichting, er is geïnvesteerd in onderzoek en voorlichting en er zijn nationale en internationale samenwerkingsverbanden opgestart. Ook zijn er informatiebrochures ontwikkeld en is er jaarlijks de Zeldzame Ziekten Dag.

Expertisecentra

De Stuurgroep WGM ontwikkelt met veldpartijen een model voor expertisecentra, kenniscentra gespecialiseerd in een specifieke (groep van) zeldzame aandoening(en). Hiermee verbetert de stuurgroep de kwaliteit van de multidisciplinaire zorg voor mensen met een zeldzame aandoening. Naast de beroepsgroepen zijn ook de patiënten zelf betrokken bij het formuleren van de criteria voor expertisecentra.

Onderzoek

De Stuurgroep WGM is betrokken bij drie grote onderzoeksprojecten:

- In 2011 start op initiatief van de Stuurgroep WGM het onderzoeksprogramma 'Zeldzame aandoeningen en weesgeneesmiddelen' bij ZonMw, de Nederlandse organisatie voor gezondheidsonderzoek en zorginnovatie. Het programma financiert nationale en Europese onderzoeksprojecten, die gericht zijn op de ontwikkeling van nieuwe behandelingen voor zeldzame aandoeningen.
- De Stuurgroep WGM neemt samen met ZonMw deel aan het vierjarige Europese project E-Rare-1 en steunt de aanvraag van het vervolproject E-Rare-2. De projecten hebben tot doel de infrastructuur voor onderzoek aan zeldzame aandoeningen te versterken.
- De Stuurgroep WGM is coördinator en medefinancier van een multidisciplinair project rond de registratie van zeldzame metabole aandoeningen, dat is ondergebracht bij TI Pharma.

Ontwikkeling van nieuwe therapieën

Op verschillende manieren stimuleert de Stuurgroep WGM de ontwikkeling van nieuwe therapieën voor mensen met een zeldzame aandoening:

- De Stuurgroep WGM initieerde een onderzoek naar ontwikkeling van weesgeneesmiddelen, dat resulteerde in 2010 in het proefschrift 'From research on rare diseases to new orphan drug development' van Harald Heemstra.
- De Stuurgroep WGM initieerde in 2006 de positie van Remco de Vruhe -Orphan



wgm

Stuurgroep Weesgeneesmiddelen
Laan van Nieuw Oost Indië 334
2593 CE Den Haag
T 070 349 52 11
F 070 349 53 87
E wgm@zonmw.nl
www.weesgeneesmiddelen.nl

Product Developer- die voorlichting geeft over de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen aan bedrijven en universitaire medische centra.

- De Stuurgroep WGM financiert van 2009 tot eind 2011 het programma ODD (Orphan Drug Designation) Support Subsidie, dat bedrijven subsidie geeft voor het aanvragen van de status van weesgeneesmiddel.

Beschikbaarheid van weesgeneesmiddelen

De Stuurgroep WGM heeft meegewerkt aan het tot stand komen van de Beleidsregel Weesgeneesmiddelen, waardoor de vergoeding van dure weesgeneesmiddelen in universitaire medische centra geregeld werd. De Stuurgroep WGM heeft verder twee brochures over weesgeneesmiddelen voor behandelaars en patiënten tot stand gebracht zodat behandelaars en patiënten zelf beter de weg kunnen vinden hoe een geneesmiddel beschikbaar te krijgen. Deze brochures zijn te vinden op de website: www.weesgeneesmiddelen.nl. Daarnaast verstrekt de Stuurgroep WGM samen met het WINap (Wetenschappelijk Instituut Nederlandse Apothekers) informatie via www.farmanco.knmp.nl/weesgeneesmiddelen.

Internationale contacten

De Stuurgroep WGM is een internationaal contactpunt geworden. Voorbeelden van internationale activiteiten zijn:

- Europlan: Een Europees project waarin de Stuurgroep WGM aanbevelingen voor nationale plannen en strategieën voor

zeldzame ziektebeleid ontwikkelt.

- Polka: Binnen dit project werkt de Stuurgroep WGM onder meer mee aan de organisatie van de Europese conferentie voor zeldzame aandoeningen in Krakau in 2010.

Coördinatie en informatie

In de loop der jaren is veel informatie verzameld, en een belangrijk netwerk en samenwerkingsklimaat gecreëerd. Sinds 2008 coördineert de Stuurgroep WGM de Zeldzame Ziekten Dag (www.zeldzameziektendag.nl), samen met de VSOP, KNMP en het Zeldzame Ziekten Fonds. Door deze dagen is er -niet in de laatste plaats door de media- meer aandacht gekomen voor zeldzame ziekten. De Stuurgroep WGM organiseert (soms samen met andere organisaties) ook bijeenkomsten om specifieke onderwerpen op de kaart te zetten, zoals versterking van de stem van de patiënt, expertisecentra en publieksinformatie. Tot slot is de Stuurgroep WGM een belangrijk informatieloket voor alle doelgroepen. In de toekomst gaat de Stuurgroep WGM zoveel mogelijk activiteiten overdragen aan veldpartijen om hen medeverantwoordelijk te maken voor het 'dossier' van de zeldzame aandoeningen.

Meer informatie

Meer informatie en een uitgebreid verslag van de activiteiten in 2005-2009 vindt u op www.weesgeneesmiddelen.nl.

Februari 2010