

Zeldzame aandoeningen: Wat zijn weesgeneesmiddelen?

Zeldzame aandoeningen

Preventie en zorg

Zeldzame aandoeningen: Wat zijn weesgeneesmiddelen?

Weesgeneesmiddelen zijn geneesmiddelen voor zeldzame aandoeningen

Weesgeneesmiddelen (internationale term 'orphan drugs') zijn geneesmiddelen die bestemd zijn voor de diagnose, preventie of behandeling van zeldzame aandoeningen. Een overzicht van weesgeneesmiddelen waarvoor een Europese handelsvergunning is toegekend is te vinden op de website van Orphanet (List of orphan drugs).

Elk weesgeneesmiddel doorloopt ontwikkelings- en registratietraject

Zoals alle geneesmiddelen, doorloopt een weesgeneesmiddel een bepaald ontwikkelings- en registratietraject voordat het een handelsvergunning verkrijgt. Omdat het aantal patiënten met een zeldzame aandoening laag is, is het lastig om genoeg patiënten te vinden om de effectiviteit en veiligheid van het geneesmiddel in voldoende mate te kunnen onderzoeken. Het is daarom vaak noodzakelijk om de geneesmiddelenstudies met patiënten uit verschillende landen uit te voeren. Ook worden de hoge ontwikkelingskosten van het geneesmiddel mogelijk niet gedekt omdat de afzetmarkt klein is en de verkoop van het geneesmiddel laag.

Veel off-labelgebruik

Het geringe aantal patiënten en de problemen die dit oplevert voor fabrikanten, maken ook dat het onderzoek naar toepassingen van al bestaande geneesmiddelen minder aantrekkelijk is. Een gevolg hiervan is dat er bij zeldzame aandoeningen vaak sprake is van off-labelgebruik van bestaande geneesmiddelen. Off-labelgebruik betekent dat een geneesmiddel wordt voorgeschreven voor een indicatie, leeftijdsgroep of toepassing waar het middel niet voor is geregistreerd. Hieraan zijn risico's verbonden, omdat er vaak veel minder wetenschappelijke onderbouwing is over de effectiviteit en veiligheid van het geneesmiddel in de betreffende toepassing. Off-labelgebruik biedt echter uitkomst wanneer er geen geregistreerde behandelingsmethode voorhanden is.

1 van 3

Notenboom K (RIVM), Breukelen SV (VSOP), Eysink PED (RIVM). Zeldzame aandoeningen: Wat zijn weesgeneesmiddelen?
In: Volksgezondheid Toekomst Verkenning, Nationaal Kompas Volksgezondheid. Bilthoven: RIVM,
<<http://www.nationaalkompas.nl>> Nationaal Kompas Volksgezondheid\Gezondheidstoestand\Ziekten en
aandoeningen\Zeldzame aandoeningen, 16 oktober 2013.

Zeldzame aandoeningen: Wat zijn weesgeneesmiddelen?

Specifieke wet- en regelgeving om ontwikkeling van weesgeneesmiddelen te bevorderen

In 2000 is er in Europa specifieke wet- en regelgeving voor weesgeneesmiddelen ingevoerd om de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen te bevorderen (Verordening (EG) nr. 141/2000 van het Europees Parlement en de Raad van 16 december 1999 inzake weesgeneesmiddelen). Met de invoering van deze Verordening komt een geneesmiddel, indien het de status 'weesgeneesmiddel' wordt toegekend, in aanmerking voor stimulerende maatregelen. De maatregelen die de status weesgeneesmiddel biedt, zijn:

- Na verlening van de handelsvergunning hebben weesgeneesmiddelen een marktexclusiviteit gedurende maximaal 10 jaar.
- Weesgeneesmiddelen mogen (tegen gereduceerd tarief) gebruik maken van de centrale registratieprocedure van de EMA. Hierdoor kan in een keer een handelsvergunning voor alle Europese lidstaten worden verleend.
- De EMA verleent (tegen gereduceerd tarief) wetenschappelijk advies ter optimalisering van de onderzoeksprotocollen en voor de opstelling van het registratiedossier.
- Organisaties die weesgeneesmiddelen ontwikkelen kunnen in aanmerking komen voor programma's van de EU ter ondersteuning van onderzoek en ontwikkeling.

COMP adviseert over status weesgeneesmiddel

In Europa adviseert het Committee for Orphan Medicinal Products (COMP) van de European Medicines Agency (EMA) over het al dan niet toekennen van de status weesgeneesmiddel.

Alleen Europees geregistreerde weesgeneesmiddelen vergoed

In Nederland zijn er verschillende opties om weesgeneesmiddelen vergoed te krijgen. In principe komen alleen Europees geregistreerde weesgeneesmiddelen in aanmerking voor vergoeding. Dit gebeurt extramuraal via het Geneesmiddelen vergoedingssysteem (GVS) als het gaat om een weesgeneesmiddel dat gebruikt wordt in een thuissituatie. Het College van Zorgverzekeringen adviseert het ministerie van VWS over de geneesmiddelen die door de zorgverzekeraar uit het basispakket worden vergoed. Alleen bij aangetoonde meerwaarde na een beoordeling op therapeutische waarde en doelmatigheid neemt de minister het (wees)geneesmiddel op in het GVS.

2 van 3

Notenboom K (RIVM), Breukelen SV (VSOP), Eysink PED (RIVM). Zeldzame aandoeningen: Wat zijn weesgeneesmiddelen? In: Volksgezondheid Toekomst Verkenning, Nationaal Kompas Volksgezondheid. Bilthoven: RIVM, <<http://www.nationaalkompas.nl>> Nationaal Kompas Volksgezondheid\Gezondheidstoestand\Ziekten en aandoeningen\Zeldzame aandoeningen, 16 oktober 2013.

Zeldzame aandoeningen: Wat zijn weesgeneesmiddelen?

Aantal extramurale geneesmiddelen intramuraal vergoed

Sinds 2012 wordt elk jaar een groter aantal extramurale medisch-specialistische geneesmiddelen niet meer bekostigd via het GVS, maar via het ziekenhuis (intramurale vergoeding). Deze geneesmiddelen worden alleen vergoed als de behandeling met deze geneesmiddelen in of door een ziekenhuis plaatsvindt. Een Zelfstandig Behandelcentrum (ZBC) valt hier niet onder. Zie voor meer achtergrondinformatie over de overheveling van deze medisch-specialistische geneesmiddelen de brief van de Minister van VWS uit mei 2012.

Intramurale vergoeding weesgeneesmiddelen bij gebruik binnen ziekenhuis

Een weesgeneesmiddel kan ook intramuraal vergoed worden wanneer het binnen een ziekenhuis gebruikt wordt. Alle geneesmiddelen in combinatie met de bijbehorende indicaties, die op 1 juni 2011 zijn opgenomen op de stofnamenlijst van de beleidsregel Dure Geneesmiddelen en de beleidsregel Weesgeneesmiddelen, zijn met ingang van 2012 een add-on. Dit geldt ook voor geneesmiddelen/indicaties die de komende periode als uitkomst van de herbeoordelingen eventueel van de beleidsregel worden verwijderd (Nederlandse Vereniging van Ziekenhuizen, zie: Add-on prestatiebekostiging).

Zie:

- Europees geregistreerde geneesmiddelen
- Weesgeneesmiddelen

Afkortingen

- COMP Committee for Orphan Medicinal Products
- EMA European Medicines Agency
- EU Europese unie
- GVS Geneesmiddelen vergoedingssysteem
- VWS Ministerie van Volksgezondheid, Welzijn en Sport

3 van 3

Notenboom K (RIVM), Breukelen SV (VSOP), Eysink PED (RIVM). Zeldzame aandoeningen: Wat zijn weesgeneesmiddelen?
In: Volksgezondheid Toekomst Verkenning, Nationaal Kompas Volksgezondheid. Bilthoven: RIVM,
<<http://www.nationaalkompas.nl>> Nationaal Kompas Volksgezondheid\Gezondheidstoestand\Ziekten en
aandoeningen\Zeldzame aandoeningen, 16 oktober 2013.