



STATUSVERSLAG OVER DE TENUITVOERLEGGING VAN DE WETGEVING INZAKE WEESGENEESMIDDELEN VAN HET EUROPEES PARLEMENT

- In april 2000 trad in de Europese Unie de wetgeving inzake weesgeneesmiddelen¹ in werking, waarnaar patiënten met zeldzame ziekten al jaren hadden uitgekeken.
- ‘Weesgeneesmiddelen’ zijn bedoeld voor de behandeling van aandoeningen die zo zelden voorkomen dat de farmaceutische industrie niet bereid is ze onder normale marktvoorwaarden te ontwikkelen. Deze geneesmiddelen zijn bestemd voor personen met levensbedreigende of zeer ernstige ziekten waarvoor op dit moment geen of alleen onbevredigende behandelingsmogelijkheden bestaan. Een groot aantal van deze ziekten treft kinderen en pasgeboren baby's.
- Het EMEA vervult een belangrijke nieuwe rol bij het bevorderen van de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen. Er is een comité en nieuwe procedures zijn ingesteld om weesgeneesmiddelen als zodanig aan te wijzen. Initiatiefnemers zullen worden gestimuleerd om weesgeneesmiddelen op zo kort mogelijke termijn op de markt en bij de patiënt te brengen. Stimulansen zijn onder meer de mogelijkheid om technische bijstand (wetenschappelijk advies) van het EMEA te vragen en om verlaging te verzoeken van de vergoedingen voor alle soorten gecentraliseerde activiteiten, zoals vergoedingen voor technische bijstand, voor de aanvraag voor de vergunning voor het in de handel brengen, wijzigingsvergoedingen en jaarlijkse vergoedingen.
- Het Comité voor weesgeneesmiddelen (Committee for Orphan Medicinal Products - het COMP), dat in april 2000 bij het EMEA is ingesteld, is het eerste institutionele comité van de Europese Unie waarvan vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties volwaardig lid zijn. Eén van hen is de vice-voorzitter.
- Initiatiefnemers kunnen sinds mei 2000 bij het EMEA aanvragen indienen voor de aanwijzing als weesgeneesmiddel, en de respons is tot nu toe reeds aanzienlijk:

<i>Intentie tot aanvraag aangekondigd</i>	<i>Ingediende aanvragen</i>	<i>Ingetrokken aanvragen</i>	<i>Positieve adviezen COMP</i>	<i>Negatieve adviezen COMP</i>	<i>Aanwijzingen door de Europese Commissie</i>
47	169	43	101	1 ²	98

Bijzonderheden omtrent weesgeneesmiddelen zijn in het communautaire register van weesgeneesmiddelen ingevoerd. Dit is te vinden op de website van de Europese Commissie (<http://pharmacos.eudra.org/F2/register/index.htm>).

- Bij de door het EMEA reeds ontvangen of verwachte aanvragen met betrekking tot zeldzame ziekten gaat het onder meer om producten voor:
 - erfelijke ziekten waarbij enzymdeficiëntie leidt tot stofwisselingsstoornissen, en uiteindelijk tot een vroegtijdige dood ;
 - ziekten waarbij transplantatie momenteel de enige mogelijkheid is ;
 - patiënten met hardnekkige darmstoornissen en ernstige longfunctiedeficiëntie (mucoviscidose);

¹ Verordening (EG) nr. 141/2000 van 16 december 1999 alsmede Verordening (EG) nr. 847/2000 van 27 april 2000 van de Commissie.

² Vijf negatieve beoordelingen werden tot heden verstrekt. Eén is momenteel in beroep. Twee aanvragen werden teruggetrokken, één ontving een uiteindelijk negatieve beslissing, terwijl één een uiteindelijk positieve beslissing ontving volgend op beroep.

- zeldzame vormen van kanker, bijvoorbeeld hersentumoren met name bij kinderen en jonge volwassenen; kanker waarvoor geen therapeutische mogelijkheid meer bestaat nadat alle bestaande therapieën hebben gefaald, zoals bij bepaalde vormen van bloedkanker (leukemie);
- neurologische aandoeningen die tot verlamming en uiteindelijk tot de dood leiden;
- producten die bijdragen tot succesvolle beenmergtransplantatie.

Een aantal van deze geneesmiddelen wordt ontwikkeld door middel van biotechnologie of gentherapie, voor het grootste deel door kleine en middelgrote Europese bedrijven.

- De eerste weesgeneesmiddelen werden in handel gebracht tijdens 2001, volgend op vergunningen verleend door de Europese Commissie. Tot heden ontvingen 4 weesgeneesmiddelen een vergunning:

Produkt naam	Datum van aangewezen vergunning	Weesgeneesmiddel aandoening	Benaderend aantal ³ EG inwoners lijdend aan de aandoening
Fabrazyme	augustus 2001	ziekte van Fabry	500-1000
Replagal	augustus 2001	ziekte van Fabry	500-1000
Glivec	november 2001	chronische myeloïde leukemia	33 000
Trisenox	maart 2002	acute promyelocytische leukemia	30 000

- Verder ontving het EMEA 15 bijkomende vergunningsaanvragen voor het in de handel brengen en één bijkomende variatie voor een reeds toegekend weesgeneesmiddel. Deze aanvragen worden momenteel onderzocht.
- De Gemeenschap heeft in 2001 € 1 297 500 ter beschikking gesteld voor vrijstellingen van vergoedingen voor weesgeneesmiddelen
- De Gemeenschap heeft in 2002 € 3 300 000 ter beschikking gesteld voor vrijstellingen van vergoedingen voor weesgeneesmiddelen. Bovendien is een bedrag van € 1 900 000 ten laste van de basissubsidie van het Bureau gereserveerd om de kosten van vergaderingen en personeel te dekken. Het grote aantal aanwijzingen in 2001 leidt tot een groter dan verwacht aantal aanvragen voor vergunningen voor het in de handel brengen van weesgeneesmiddelen in 2002. Op dit moment is reeds 50% van het bedrag voor vergoedingsvrijstellingen gereserveerd voor verzoeken om technische bijstand en vergunningsaanvragen en het onderhouden van aangewezen weesgeneesmiddelen.
- Voor 2003, het EMEA heeft om een speciale bijdrage van € 6 200 000 verzocht ter financiering van vergoedingsreducties voor circa 20 aanvragen voor een vergunning voor het in de handel brengen van weesgeneesmiddelen en 30 verzoeken om technische bijstand. Tevens is verzocht om een aanvulling van € 2 300 000 ten laste van de basissubsidie van het Bureau ter dekking van de kosten voor personeel en vergaderingen in het kader van het proces van aanwijzing van weesgeneesmiddelen en van de ondersteuning van de technische bijstandswerkzaamheden.

³ Het aantal patiënten lijdend aan de ziekte is bij benadering aangegeven en beoordeeld, enkel voor de aanwijzing. Deze benadering is gebaseerd op beschikbare informatie en berekeningen verstrekt door de sponsor tijdens de aanvraag en kan dus afwijken van het exact aantal patiënten lijdend aan de aandoening.

I. OVERZICHT BEGROTINGSBEHOEFTEEN EMEA, 2002-2003

Jaar	2002	2003
Aantal aanwijzingen als weesgeneesmiddel	85	90
Aantal vergunningaanvragen voor weesgeneesmiddelen + technische bijstand	38	50
Aantal wijzigingen + jaarlijkse vergoeding voor handhaving vergunning	12	44
Speciale bijdrage voor gedeeltelijke vrijstelling van vergoedingen	€ 3 300 000	€ 6 200 000 (raming)
Bijdrage uit EU-basissubsidie voor vergader- en personeelskosten van het EMEA	€ 1 900 000	€ 2 300 000 (raming)

--EINDE--