

SÉNAT DE BELGIQUE

SESSION DE 2012-2013

9 JUILLET 2013

Opportunités et défis des thérapies innovantes

RAPPORT

FAIT AU NOM DU GROUPE
DE TRAVAIL « OPPORTUNITÉS
ET DÉFIS DES THÉRAPIES
INNOVANTES »

FAIT À LA COMMISSION
DES AFFAIRES SOCIALES
PAR

M. DU BUS DE WARNAFFE

I. INTRODUCTION

La commission des Affaires sociales du Sénat a décidé, le 27 mars 2012, conformément à l'article 26 du règlement du Sénat, de créer un groupe de travail « Opportunités et défis des thérapies innovantes ».

BELGISCHE SENAAT

ZITTING 2012-2013

9 JULI 2013

Kansen en uitdagingen verbonden aan innoverende therapieën

VERSLAG

NAMENS DE WERKGROEP
« KANSEN EN UITDAGINGEN
VERBONDEN AAN
INNOVERENDE THERAPIEËN »
UITGEBRACHT AAN DE COMMISSIE
VOOR DE SOCIALE AANGELEGENHEDEN
DOOR

DE HEER DU BUS DE WARNAFFE

I. INLEIDING

De commissie voor de Sociale aangelegenheden van de Senaat besliste op 27 maart 2012, overeenkomstig artikel 26 van het Reglement van de Senaat, een werkgroep « Kansen en uitdagingen verbonden aan innoverende therapieën » op te richten.

Composition du groupe de travail / Samenstelling van de werkgroep :

Président / Voorzitter : André du Bus de Warnaffe.

Membres / Leden :

N-VA
PS
MR
CD&V
sp.a
Open Vld
Vlaams Belang
Écolo
cdH

Elke Sleurs.
Fabienne Winckel.
Jacques Brotchi.
Cindy Franssen.
Leona Detiège.
Nele Lijnen.
Yves Buysse.
Cécile Thibaut.
André du Bus de Warnaffe.

Le groupe de travail était composé des membres suivants :

- Mme Elke Sleurs;
- Mme Fabienne Winckel;
- M. Jacques Brotchi;
- Mme Cindy Franssen;
- Mme Marleen Temmerman (jusqu'au 14 octobre 2012);
- Mme Leona Detiège (à partir du 6 novembre 2012);
- Mme Nele Lijnen;
- M. Yves Buysse;
- Mme Cécile Thibaut;
- M. André du Bus de Warnaffe.

Lors de la réunion du groupe de travail du 29 mai 2012, M. du Bus de Warnaffe a été désigné comme président.

Conformément à l'article 26, alinéa 3, du règlement du Sénat, le groupe de travail s'est réuni à huis clos.

Le groupe de travail s'est réuni les 29 mai, 19 juin, 10 juillet, 19 septembre, 6 novembre, 27 novembre et 11 décembre 2012 ainsi que les 5 mars, 26 mars, 28 mai, 25 juin et 9 juillet 2013.

Le groupe de travail a organisé des auditions et procédé à des échanges de vues avec les personnes, organisations et entreprises suivantes :

Le 19 juin 2012 :

- le professeur Jean-Jacques Cassiman, Centrum Menselijke Erfelijkheid, KULeuven;

Le 10 juillet 2012 :

- le professeur Catherine Verfaillie, département Développement et Régénération, Unité Embryons et Cellules, KULeuven;

- le professeur Pierre Vanderhaeghen, Institut de recherche interdisciplinaire en biologie humaine et moléculaire (IRIBHM), ULB.

Le 19 septembre 2012 :

- Mme Claire Beuneu et M. Benaïd Sekkali, Agence fédérale des médicaments et des produits de santé.

Le 6 novembre 2012 :

- M. Eric Halioua, Promethera Biosciences;
- M. Christian Homsy, Cardio3 Biosciences;

De werkgroep bestond uit de volgende leden :

- Mevrouw Elke Sleurs;
- Mevrouw Fabienne Winckel;
- De heer Jacques Brotchi;
- Mevrouw Cindy Franssen;
- Mevrouw Marleen Temmerman (tot 14 oktober 2012);
- Mevrouw Leona Detiège (vanaf 6 november 2012);
- Mevrouw Nele Lijnen;
- De heer Yves Buysse;
- Mevrouw Cécile Thibaut;
- De heer André du Bus de Warnaffe.

Op de vergadering van de werkgroep van 29 mei 2012 werd de heer du Bus de Warnaffe aangewezen als voorzitter.

Overeenkomstig artikel 26, derde lid, van het Reglement van de Senaat vergaderde de werkgroep met gesloten deuren.

De werkgroep vergaderde op 29 mei, 19 juni, 10 juli, 19 september, 6 november, 27 november en 11 december 2012 en op 5 maart, 26 maart, 28 mei, 25 juni en 9 juli 2013.

Er werden hoorzittingen en gedachtewisselingen georganiseerd met de volgende personen, organisaties en bedrijven :

Op 19 juni 2012 :

- Prof.essor Jean-Jacques Cassiman, Centrum Menselijke Erfelijkheid, KULeuven;

Op 10 juli 2012 :

- Prof.essor Catherine Verfaillie, Departement Ontwikkeling en Regeneratie, Eenheid Embryo en Stamcellen, KULeuven;

- Prof.essor Pierre Vanderhaeghen, *Institut de recherche interdisciplinaire en biologie humaine et moléculaire* (IRIBHM), ULB.

Op 19 september 2012 :

- Mevrouw Claire Beuneu en de heer Benaïd Sekkali, Federaal Agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten.

Op 6 november 2012 :

- De heer Eric Halioua, Promethera Biosciences;
- De heer Christian Homsy, Cardio3 Biosciences;

— Mme Annie Hubert, coordinatrice pour l'association CO-ACT;

— M. Mike De Leeuw, Beta Cell NV;

— M. Wilfried Daelemans, Tigenix;

— M. Enrico Bastianelli, *Bone Therapeutics*.

Le 27 novembre 2012 :

— Mme Cathy Plasman, *Belgian Biotechnology Industry organisation*;

— Mme France Fannes, Biowin;

— Mme Ann De Beuckelaer, FlandersBio;

— M. Michel Goldman, *Innovative Medicines Initiative* (IMI);

— M. Stefaan Van der Spiegel, Substances d'origine humaine, Commission européenne.

Le 11 décembre 2012 :

— MM. Frie Niesten, Chris Van Hul et Gustaaf Nelis et Mmes Evelien Macken et Els De Baerdemaeker, représentants du Collège intermutualiste national (CIN);

— le professeur Katelijne De Nys, présidente de la Commission de remboursement des médicaments.

Le 5 mars 2013 :

— M. Koenraad Vandewoude, expert attaché au cabinet de Mme Laurette Onkelinx, vice-première ministre et ministre des Affaires sociales et de la Santé publique.

Le 26 mars 2013 :

— Mmes Lia Le Roy et Betty Ryckaert, ASBL Werkgroep hersentumoren;

— Mmes Ingrid Jageneau et Lut De Baere, RaDiOrg.be (*Rare Diseases Organisation*);

— Mme Ilse Weeghmans, ASBL *Vlaams Patiëntenplatform*;

— M. Charles van der Straten Waillet, *Belgian Brain Council*.

Le compte rendu des auditions peut être consulté sur le site Internet du Sénat, www.senate.be, sous le numéro 5-1917/2.

II. PROPOSITION DE TEXTE ET RECOMMANDATION

Compte tenu de la longueur des auditions, un membre propose d'en rédiger d'abord une synthèse et de formuler ensuite une recommandation.

— Mevrouw Annie Hubert, coördinator voor CO-ACT Association;

— De heer Mike De Leeuw, Beta Cell NV;

— De heer Wilfried Daelemans, Tigenix;

— De heer Enrico Bastianelli, *Bone Therapeutics*.

Op 27 november 2012 :

— Mevrouw Cathy Plasman, *Belgian Biotechnology Industry organisation*;

— Mevrouw France Fannes, Biowin;

— Mevrouw Ann De Beuckelaer, FlandersBio;

— De heer Michel Goldman, *Innovative Medicines Initiative* (IMI);

— De heer Stefaan Van der Spiegel, *Substances of Human Origin, European Commission*.

Op 11 december 2012 :

— De heren Frie Niesten, Chris Van Hul en Gustaaf Nelis en de dames Evelien Macken en Els De Baerdemaeker, vertegenwoordigers van het Nationaal Intermutualistisch College (NIC);

— Professor Katelijne De Nys, voorzitter van de Commissie tegemoetkoming geneesmiddelen.

Op 5 maart 2013 :

— De heer Koenraad Vandewoude, expert verbonden aan het kabinet van mevrouw Laurette Onkelinx, vice-eersteminister en minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid.

Op 26 maart 2013 :

— De dames Lia Le Roy en Bettu Ryckaert, Werkgroep hersentumoren VZW;

— De dames Ingrid Jageneau en Lut De Baere, RaDiOrg.be (*Rare Diseases Organisation*);

— Mevrouw Ilse Weeghmans, Vlaams Patiëntenplatform VZW;

— De heer Charles van der Straten Waillet, *Belgian Brain Council*.

Het verslag van de hoorzittingen kan geraadpleegd worden op de website van de Senaat, www.senaat.be, onder het nummer 5-1917/2.

II. VOORSTEL VAN TEKST EN AANBEVELING

Gelet op de zeer uitgebreide hoorzittingen, stelt een lid voor te werken op basis van een synthese van de hoorzittingen, gevolgd door een aanbeveling.

La synthèse est divisée en trois parties. La première donne un aperçu du contexte général. Le groupe de travail a pu se rendre compte de l'évolution du secteur des thérapies innovantes. Quelles nouvelles perspectives ouvrent-elles aux maladies qui ne connaissent pas encore de traitement efficace? Quelles sont les retombées de la recherche dans ce secteur et des progrès de ces thérapies innovantes sur les autres thérapies? Grâce aux évolutions récentes de la thérapie génique et de la thérapie cellulaire, il est maintenant possible de distinguer dix types différents de cancer du sein.

La deuxième partie de la synthèse porte sur les opportunités envisageables. Quelles nouvelles perspectives les progrès de la recherche en matière de thérapies innovantes laissent-ils entrevoir? La première piste examinée est celle des perspectives thérapeutiques. Partant des auditions, la synthèse distingue plusieurs pathologies que les évolutions thérapeutiques intéressent de manière directe ou indirecte. Elle passe d'abord en revue toutes les maladies rares pour s'intéresser ensuite aux tumeurs et affections cérébrales, aux maladies cardiaques ischémiques, au diabète, aux maladies du système osseux et aux lésions du cartilage. Le spectre des pathologies est donc très large. La synthèse pointe également la recherche de nouveaux médicaments destinés à pallier le déclin progressif des antibiotiques.

Les thérapies innovantes offrent de réelles opportunités, non seulement pour les patients, mais aussi pour la Belgique et ses régions. Toutes les régions soutiennent dans une mesure appréciable la recherche, les laboratoires et les études cliniques. Notre tradition en matière de R&D se traduit d'ailleurs en un leadership européen, voire mondial, de notre pays proportionnellement à son nombre d'habitants. Plusieurs experts ont relevé une particularité intéressante de notre pays: son réseau très dense d'hôpitaux particulièrement compétents en matière de gestion et de mise en œuvre de nouvelles thérapies.

Les opportunités pour la Belgique et ses régions se situent en même temps dans le développement de la recherche et la création d'emplois. Plusieurs orateurs ont souligné à quel point les perspectives prometteuses du secteur peuvent favoriser la croissance et l'emploi.

L'Europe joue un rôle important de régulateur. De plus, elle apporte un soutien, mais est parfois également à la base de certains défis, comme celui de l'exemption hospitalière. Mais l'Europe balise également le chemin, en imposant par exemple à chaque État membre de disposer, pour 2013, d'un plan national relatif aux maladies rares.

Enfin, la troisième partie de la synthèse porte sur les défis. Elle épinge d'abord les défis pour les patients. Dès la première audition, le professeur Cassiman a

De synthese bestaat uit drie delen. Het eerste deel geeft een beeld van de algemene context. De werkgroep heeft een overzicht gekregen van de evolutie binnen de sector van de innoverende therapieën. Op welke manier ontstaan door deze therapieën nieuwe mogelijkheden voor ziekten waar nu nog geen goede behandeling voor bestaat? Hoe zorgt de evolutie en het onderzoek naar deze therapieën ook voor vooruitgang in andere therapieën? Het is nu bijvoorbeeld op basis van de evolutie van gentherapie en celtherapie mogelijk tien verschillende types borstkanker te onderscheiden.

Het tweede deel van de synthese gaat over de kansen die zich kunnen voordoen. Hoe zorgt de evolutie van het onderzoek naar deze therapieën voor nieuwe kansen? In eerste instantie wordt dan gekeken naar de therapeutische perspectieven. Op basis van de hoorzittingen maakt de synthese het onderscheid tussen verschillende pathologieën, die rechtstreeks en onrechtstreeks belang hebben bij therapeutische evoluties. In de eerste plaats gaat het dan over alle zeldzame ziekten, daarna over hersentumoren, hersenaandoeningen, ischemische hartziekten, diabetes, beenderziekten en kraakbeenletsels. Het spectrum pathologieën is dus zeer breed. De synthese verwijst eveneens naar het onderzoek naar nieuwe geneesmiddelen waardoor de verminderde vaakzaamheid van antibiotica kan worden opgevangen.

Naast de kansen voor de patiënten, zijn er ook kansen voor België en de gewesten. Alle gewesten steunen in belangrijke mate het onderzoek, de laboratoria en het klinisch onderzoek. De traditie van onderzoek vertaalt zich trouwens in een Europees en zelfs wereldwijd leiderschap van ons land, in verhouding tot het aantal inwoners. Een interessant kenmerk waar door verschillende experts op werd gewezen, is het zeer dichte netwerk van ziekenhuizen die bekwaam zijn inzake het beheer en de toepassing van nieuwe therapieën.

De kansen voor België en de gewesten liggen tegelijk in de ontwikkeling van het onderzoek en de creatie van werkgelegenheid. Verschillende genodigden hebben benadrukt hoe gunstige perspectieven in de sector kunnen leiden tot een sterke groei en stijging van de tewerkstelling.

Europa heeft een belangrijke rol als regulator. Europa ondersteunt bovendien, maar zorgt soms ook voor uitdagingen, denken we maar aan de ziekenhuis-uitzondering. Europa bakent echter ook de weg af, bijvoorbeeld door elke lidstaat tegen 2013 te verplichten over een nationaal plan betreffende de zeldzame ziekten te beschikken.

Het derde deel van de synthese ten slotte gaat over de uitdagingen. De synthese verwijst in eerste instantie naar de uitdagingen voor de patiënten. Reeds bij de eerste

soutenu que l'ensemble des perspectives thérapeutiques représente une véritable révolution copernicienne par le fait que les patients se positionnent de plus en plus en partenaires de l'évolution de la recherche dans les thérapies innovantes. Aujourd'hui, la consultation des patients et leur implication font partie intégrante de la recherche scientifique. Ils ont donc un rôle important à jouer. Les représentants des associations de patients ont souligné ce rôle fondamental du patient.

Les défis pour les pouvoirs publics sont d'une autre nature. Il y a d'abord ceux du domaine éthique. Le professeur Cassiman a par exemple pointé l'émergence d'une nouvelle question éthique en termes de prévention. En effet, il est désormais possible de connaître à l'avance la probabilité qu'un individu développe ou non une pathologie donnée. Cette réalité pourrait mener à une sorte de « dictature » de la prévention, où l'État obligerait ses citoyens à faire analyser leur profil génétique et prendrait ensuite les mesures préventives qui s'imposent pour empêcher l'apparition d'une pathologie donnée.

Un autre thème abordé par la quasi-totalité des orateurs concerne l'accessibilité financière des nouveaux produits, leur remboursement, et donc leur financement par les organismes assureurs et par les pouvoirs publics. En soi, un traitement n'a pas de prix, mais c'est au politique qu'il revient de préciser ce principe général de soins de santé accessibles et abordables. Il s'agit là de questions essentielles.

Le défi suivant est le renforcement de la position de la Belgique. Actuellement, notre pays est à la pointe dans certains domaines de la recherche et de l'innovation. Pourra-t-on renforcer cette position, par exemple en améliorant certains aspects juridiques, comme l'exemption hospitalière ?

Enfin, quels sont les défis qui se posent aux entreprises ? Elles ont besoin de capitaux importants. Comment trouver ce financement ? Comment choisir les produits à développer et l'orientation à prendre ? Pour répondre à ces questions, il faut évaluer l'intérêt thérapeutique des investissements. Le retour sur investissement est au centre du processus décisionnel des entreprises.

La clarification de la structure du prix du médicament demeure également un défi. Il s'agit d'un débat en soi. Plusieurs orateurs ont expliqué que la méconnaissance des paramètres qui influencent la structure du prix affecte la transparence de la fixation du prix d'un médicament.

Au final, une seule recommandation est formulée, en l'occurrence la mise sur pied d'un observatoire des thérapies avancées et du séquençage du génome humain. Ce projet devra associer les différents acteurs

hoorzitting heeft professor Cassiman gesteld dat het geheel van de therapeutische perspectieven een ware copernicaanse revolutie betekent doordat patiënten zich steeds meer als partners aandienen in de wetenschappelijke ontwikkeling van innoverende therapieën. Vandaag maakt de consultatie van en samenwerking met patiënten integraal deel uit van het wetenschappelijk onderzoek. Zij hebben dus een belangrijke rol. De vertegenwoordigers van de patiëntenverenigingen hebben deze fundamentele rol van de patiënt benadrukt.

De uitdagingen voor de overheid zijn van een andere orde. Eerst zijn er de uitdagingen op ethisch gebied. Prof.essor Cassiman verwees bijvoorbeeld naar het nieuwe ethische vraagstuk van de preventie. Het is immers mogelijk om al op voorhand op de hoogte te zijn van het risico voor een individu om deze of gene pathologie te ontwikkelen. Dit kan leiden tot een soort van « dictatuur » van de preventie, door mensen te verplichten hun genetisch profiel te laten onderzoeken om vervolgens de nodige preventieve maatregelen te nemen om het opduiken van een bepaalde pathologie te voorkomen.

Een ander thema dat door bijna alle genodigden ter sprake werd gebracht betreft de financiële toegankelijkheid van de nieuwe producten, de terugbetaling ervan, en dus de kosten ervan voor de verzekeringsinstellingen en de overheid. Op zich kent een behandeling geen prijs, maar het is de verantwoordelijkheid van de politiek om dit algemene principe van toegankelijkheid en betaalbaarheid van de gezondheidszorg af te bakenen. Dit zijn belangrijke vragen.

Een volgende uitdaging is de versterking van de positie van België. Ons land bekleedt vandaag een topospositie in bepaalde domeinen van innoverend onderzoek. Kan deze positie versterkt worden door bijvoorbeeld te werken aan juridische aspecten zoals de ziekenhuisuitzondering ?

Welke uitdagingen ten slotte stellen zich voor de bedrijven ? Zij hebben veel kapitaal nodig. Hoe kan deze financiering gevonden worden ? Hoe kan gekozen worden welke producten ontwikkeld worden en welke richting gevolgd moet worden ? Daarvoor is een evaluatie van het therapeutisch belang van de investeringen nodig. De return on investment staat centraal in het beslissingsproces van de bedrijven.

Ook de verheldering van de prijsstructuur van het geneesmiddel blijft een uitdaging. Dit is een debat op zich. Verschillende genodigden hebben uitgelegd dat het ontbreken van kennis over de parameters die de prijsstructuur bepalen, tot gevolg heeft dat de prijszetting van een geneesmiddel vaag blijft.

Ter afsluiting wordt slechts één enkele aanbeveling geformuleerd, namelijk het oprichten van een observatorium voor geavanceerde therapieën en sequentie-bepaling van het menselijk genoom. Daarin moeten de

des secteurs public et privé. Cet observatoire pourra aider le politique dans ses choix.

A. Proposition de texte et recommandation

1. CONTEXTE

L'initiative du groupe de travail s'inscrit dans une réflexion de santé publique qui établit le constat suivant lequel, malgré de nombreux progrès accomplis, beaucoup de maladies ne bénéficient pas encore de traitement adéquat.

À cet égard, une nouvelle discipline, la biomédecine, suscite beaucoup d'intérêt et d'espoir pour traiter des maladies ou des dysfonctionnements du corps humain pour lesquels il n'existe toujours pas d'option thérapeutique. Ce sont les domaines de la génétique, de la génomique, de la biologie moléculaire et cellulaire qui, par une révolution de nos connaissances sans précédent (1), participent à l'éclosion des thérapies avancées qui couvrent aujourd'hui la thérapie génique, la thérapie cellulaire somatique et l'ingénierie tissulaire.

Les avancées les plus spectaculaires portent sur les thérapies cellulaires qui, potentiellement, agissent non seulement contre les symptômes mais contre les causes de la maladie. On imagine, par exemple, la régénérescence du tissu cardiaque après un infarctus ou le ralentissement de la dégénérescence des fonctions cérébrales.

Eu égard au nombre d'habitants, la Belgique témoigne d'un leadership européen, voire mondial (2) en matière de recherche & développement pharmaceutique. La Belgique est aussi le premier pays à avoir autorisé la mise sur le marché et le remboursement du premier médicament de thérapie innovante (3), le ChondroCelect, destiné à la reconstitution du cartilage au départ de la mise en culture des cellules cartilagineuses du patient.

(1) Pr. J.-J. Cassiman, doc. Sénat n° 5-1917/2, p. 4. La génétique est la science de l'hérédité, la génomique, l'étude de l'ensemble du génome des organismes vivants.

(2) Mme A. Hubert, p. 70 : « La Belgique est ainsi un pays où le recrutement de patients dans le cadre d'études cliniques est très fructueux (...) Nous connaissons une tradition d'expertise et d'excellence dans le domaine pharmaceutique et aussi, tout doucement, dans le domaine des thérapies avancées. Des mesures pro-actives seront toutefois nécessaires afin de consolider cette évolution »

(3) M. W. Dalemans, p. 61 : « Tigenix, entreprise belge et spin-off de la KULeuven et de l'UGent, est la première et aussi l'unique entreprise en Europe à ce jour à être parvenue à faire valider un produit en tant que médicament sous la nouvelle législation relative aux médicaments de thérapie innovante. »

verschillende actoren uit de publieke en privésector worden samengebracht. Dit observatorium kan de politiek ondersteunen.

A. Voorstel van tekst en aanbeveling

1. CONTEXT

Het initiatief van de werkgroep handelt over een belangrijk thema inzake volksgezondheid. Men stelt immers vast dat er, ondanks alle geboekte vooruitgang, voor heel wat ziekten nog geen geschikte behandeling bestaat.

In dat opzicht wekt een nieuwe discipline, de biogeneeskunde, veel belangstelling op en groeit de hoop dat ziektes of stoornissen van het menselijk lichaam waarvoor nog steeds geen therapeutische oplossing bestaat, behandeld zullen kunnen worden. Het gaat om de genetica, de genomica, de moleculaire biologie en de celbiologie die, door een onnavolgbare revolutionaire ontwikkeling van onze kennis (1), bijdragen tot de ontplooiing van de innoverende therapieën, namelijk gentherapie, somatische celtherapie en weefselengineering.

De spectaculairste vooruitgang betreft celtherapieën die, potentieel, niet alleen de symptomen maar ook de oorzaken van ziektes kunnen bestrijden. Zo is er bijvoorbeeld de regeneratie van hartweefsel na een hartstilstand of de vertraging van de degeneratieve hersenfuncties.

In verhouding tot het aantal inwoners, speelt België een leidinggevende rol in Europa, zo niet wereldwijd (2), inzake farmaceutisch onderzoek en ontwikkeling. België is ook het eerste land waar het eerste medicijn voor innoverende therapie, ChondroCelect, op de markt werd gebracht en terugbetaald wordt (3). Dit medicijn dient voor het herstellen van kraakbeen en wordt verkregen op basis van een cultuur van kraakbeencellen van de patiënt.

(1) Prof. J.-J. Cassiman, Stuk Senaat, nr. 5-1917/2, blz. 4. Genetica is de wetenschap van de erfelijkheidsleer, de genomica is de studie van alle genomen van levende organismen.

(2) Mevrouw A. Hubert, blz. 70 : « België is traditioneel een zeer vruchtbaar land voor de rekrutering van patiënten voor klinische studies (...) De traditie van expertise en uitmuntendheid op farmaceutisch gebied bestaat dus wel degelijk. Dit wordt nu stilaan ook gerealiseerd voor de geavanceerde therapieën. Om dit te kunnen consolideren zal echter pro-actieve actie nodig zijn. »

(3) De heer W. Dalemans, blz. 61 : « Tigenix is een spin-off van de KULeuven en de UGent en het eerste en voorlopig ook het enige bedrijf in Europa dat erin geslaagd is een product te laten goedkeuren als geneesmiddel onder de nieuwe ATMP-wetgeving. »

Mais ces progrès posent une série de questions et de choix qui devront être opérés en matière de santé publique à propos, précisément, du coût de certains médicaments, du droit au traitement, du droit au remboursement, et du maintien intégral ou partiel de la solidarité inhérente au principe de l'assurance maladie (1).

Se posent également, et de façon plus aiguë dans un environnement international de plus en plus concurrentiel, les questions de financement de la recherche et de l'adaptation permanente de notre législation. Car les enjeux sont non seulement de santé publique, mais aussi de développement économique et d'emploi (2).

1.1. Les connaissances, en progrès constants !

La thérapie génique est fondée sur les nouvelles perspectives dues à la maîtrise de l'ADN. Aujourd'hui, d'après le Pr. Cassiman (KUL), obtenir la séquence ADN d'un enfant *in utero*, dans le cadre d'un diagnostic prénatal non invasif, permet de déterminer si le fœtus est porteur d'une maladie génétique ou d'autres anomalies chromosomiques. Cette maîtrise technologique a aussi une fonction prédictive : identifier, par exemple, les maladies qu'un nouveau-né risque de développer à un âge plus avancé (3).

Ces connaissances ont également une incidence sur l'efficacité des médicaments et sur les effets secondaires. Les différences, entre les individus, dans la composition de leur ADN, déterminent la vitesse de décomposition des médicaments administrés. La pharmacogénétique tient compte de ces différences (4). De plus, les informations présentes dans l'ADN déterminent la synthèse des protéines dont le fonctionnement, en réseaux, joue un rôle déterminant dans une série de maladies (cancer du sein, du colon, leucémie, ...).

Maar die vooruitgang doet vragen rijzen en er zullen keuzes moeten worden gemaakt inzake volksgezondheid, meer bepaald over de kostprijs van bepaalde medicijnen, het recht op behandeling, het recht op terugbetaling en het integrale of gedeeltelijke behoud van het solidariteitsbeginsel dat eigen is aan de ziekteverzekering (1).

Verder zijn er in een internationale omgeving waar de concurrentie alsmaar groter wordt, ook steeds prangender problemen inzake de financiering van het onderzoek en de voortdurende aanpassing van onze wetgeving. Het gaat immers niet alleen om volksgezondheid, maar ook om economische ontwikkeling en werkgelegenheid (2).

1.1. Kennis in volle evolutie !

Gentherapie is gebaseerd op nieuwe inzichten die zijn verworven dankzij de kennis over het DNA. Volgens Prof. Cassiman (KUL), is men in staat om dankzij de DNA-code van een ongebooren kind, die verkregen wordt via een niet-invasieve prenatale diagnose, vast te stellen of een foetus drager is van een genetische ziekte of andere chromosoomafwijkingen. Die technologische kunde heeft ook een voorspellende functie : bijvoorbeeld ziekten identificeren die een pasgeborene zou kunnen ontwikkelen op latere leeftijd (3).

Die kennis heeft ook invloed op de doeltreffendheid van medicijnen en de neveneffecten. De individuele verschillen in de samenstelling van het DNA bepalen de snelheid waarmee de toegediende medicijnen worden afgebroken. De farmacogenetica houdt rekening met die verschillen (4). Bovendien bepaalt de informatie die in het DNA zit de samenstelling van de proteïnen waarvan de werking, in een netwerk, een doorslaggevende rol speelt voor een reeks ziekten (borstkanker, darmkanker, leukemie, ...).

(1) Pr. J.-J. Cassiman, p. 4.

(2) M. C. Homsy, p. 53.

(3) Pr. J.-J. Cassiman, p. 6 « Le coût de cette analyse sera vraisemblablement inférieur à 200 euros, voire à 100 euros, ce qui crée d'énormes possibilités. »

(4) Pr. J.-J. Cassiman, p. 8 « Aux États-Unis, pour un nombre croissant de médicaments, il faut obligatoirement effectuer ce genre de tests avant de pouvoir les prescrire. »

(1) Prof. J.-J. Cassiman, blz. 4.

(2) De heer C. Homsy, blz. 53.

(3) Prof. J.-J. Cassiman, blz. 6 « ... de kost (van die analyse) zal waarschijnlijk minder dan 200 euro bedragen, misschien zelfs minder dan 100 euro. Dit creëert enorme mogelijkheden. »

(4) Prof. J.-J. Cassiman, blz. 8 « In de Verenigde Staten komen meer en meer geneesmiddelen op de markt waar dergelijke tests verplicht zijn vooraleer een geneesmiddel mag voorgeschreven worden. »

La maîtrise de l'ADN n'est pas limitée à l'examen du patrimoine génétique de l'homme. Elle porte aussi sur le patrimoine génétique des bactéries qui foisonnent par milliards au sein de notre organisme ou sur notre peau. De nombreuses études sont aujourd'hui menées pour comprendre l'interaction entre ces bactéries, certaines maladies et l'activité de certains médicaments. Pour assurer le traitement, par exemple des colopathies, au moyen de bactéries (1).

La maîtrise de ces caractéristiques génétiques fonde la médecine personnalisée.

Mais, si la composition de l'ADN varie considérablement d'un individu à un autre, la fonction des gènes évolue également en fonction de l'environnement. Il s'agit de l'effet épigénétique qui peut être résumé par l'interaction entre l'hérédité et le milieu (2). Le déterminisme génétique reste donc limité.

La thérapie cellulaire ouvre la voie de la reconstitution/reconstruction d'organes. Pour le Pr. Verfaillie (KUL), la fabrication d'un nouvel organe ne peut s'élaborer qu'au départ d'un « échafaudage » sur lequel les cellules pourront se fixer (3). La pénurie d'échafaudages biologiques a conduit les bio-ingénieurs et ingénieurs chimistes à mener des recherches sur de nouvelles structures organiques (une vessie a ainsi pu être fabriquée). La pénurie des cellules a, quant à elle, mené les chercheurs à travailler sur les cellules souches adultes et les cellules embryonnaires. Les cellules souches adultes sont déjà engagées dans un processus de différenciation cellulaire (elles ne peuvent se transformer en tout type de tissus) alors que, les cellules souches embryonnaires peuvent engendrer tout type de cellules, mais présenteraient un risque de développement de tumeurs plus important. Une autre difficulté porte toujours, dans le cadre des transplantations, sur les phénomènes de rejet, puisqu'il s'agit de cellules allogènes (4).

L'argument éthique qui pose la question de l'utilisation d'un ovule fécondé pour obtenir des cellules souches embryonnaires, trouvera probablement une solution dans les possibilités de création de cellules pluripotentes au départ de cellules matures.

(1) Pr. J.-J. Cassiman, « Ce domaine est étudié au niveau international, et quelques chercheurs belges sont également à la pointe de la recherche en cette matière. », p. 7.

(2) Pr. J.-J. Cassiman, p. 8 : « Cet effet (épigénétique) croît au fur et à mesure que les années passent »

(3) Pr. C. Verfaillie, p. 22 : « Pour créer un organe, il faut implanter dans l'échafaudage les différentes cellules présente dans l'organe. Autrement dit, il faut des cellules myocardiques si l'on veut fabriquer un cœur, des cellules hépatiques si l'on veut fabriquer un foie ... »

(4) Pr. C. Verfaillie, p. 26 : « ...si bien qu'une médication antirejet sera nécessaire. »

De kennis van het DNA is niet beperkt tot het onderzoeken van het genetisch patrimonium van de mens. Het betreft ook het genetisch patrimonium van de miljarden bacteriën die zich in ons organisme bevinden of op onze huid. Er worden momenteel talrijke studies uitgevoerd om de interactie te begrijpen tussen die bacteriën, bepaalde ziektes en de activiteit van bepaalde medicijnen. Zo is er bijvoorbeeld de behandeling van aandoeningen van de dikke darm op basis van bacteriën (1).

De kennis van die genetische kenmerken legt de grondslag van de gepersonaliseerde geneeskunde.

Maar, hoewel de samenstelling van het DNA grondig verschilt van mens tot mens, evolueert ook de functie van de genen op basis van de omgeving. Het betreft het epigenetisch effect dat kan worden samengevat als de tegenstelling tussen erfelijkheid en omgeving (2). Het genetisch determinisme blijft dus beperkt.

Celtherapie maakt de weg vrij voor orgaanherstel/reconstructie. Voor prof. Verfaillie (KUL) is het vervaardigen van een nieuw orgaan enkel mogelijk op basis van een « draagstructuur » waarin cellen kunnen worden vastgezet (3). Door de schaarste aan biologische draagstructuren, gingen bio-ingenieurs en scheikunde-ingenieurs op zoek naar nieuwe organische structuren (zo kon er een blaas worden vervaardigd). Door de schaarste aan cellen schakelden de onderzoekers over op volwassen stamcellen en embryonale cellen. Volwassen stamcellen bevinden zich reeds in een stadium van diversifiëring van de cellen (en kunnen dus niet in alle soorten weefsel getransformeerd worden), terwijl met embryonale stamcellen alle soorten cellen kunnen worden gemaakt. Daardoor bestaat dan wel een groter risico op tumoren. Een andere moeilijkheid, bij transplantaties, is nog steeds het afstotingsverschijnsel, aangezien het om allogene cellen gaat (4).

Het ethisch argument over het gebruik van een bevruchte eicel om embryonale stamcellen te verkrijgen, wordt waarschijnlijk irrelevant omdat er pluripotente cellen kunnen worden ontwikkeld op basis van volwassen cellen.

(1) Prof. J.-J. Cassiman, « Dit domein wordt op internationaal niveau onderzocht, maar er bevinden zich ook enkele Belgische onderzoekers in de spits. », blz. 7.

(2) Prof. J.-J. Cassiman, blz. 8 : « Het epigenetisch effect neemt immers toe naarmate de jaren verstrijken. »

(3) Prof. C. Verfaillie, blz. 22 : « Om een orgaan te kunnen maken moeten in de scaffold de verschillende cellen geplaatst worden die aanwezig zijn in het orgaan. Hartspiercellen als je een hart wil maken, levercellen als je een lever wilt maken, ... »

(4) Prof. C. Verfaillie, blz. 26 : « ...Dat betekent dat anti-afstotingsmedicatie nodig zal zijn. »

Le Pr. Vanderhaegen (ULB) utilise précisément les cellules-souches pluripotentes dans le cadre des recherches sur le cortex cérébral touché par la plupart des maladies neurologiques (Alzheimer, épilepsies, ...) et neuro-psychiatriques (syndromes apparentés à l'autisme et à la schizophrénie) (1). L'enjeu était, grâce à une reprogrammation de cellules adultes, de générer des cellules ayant des propriétés pluripotentes. L'intérêt de la création de cellules organiques (par exemple des hépatocytes ou des collections de cellules nerveuses humaines) est de tester des nouveaux médicaments, de prévoir leur métabolisation et d'examiner leur éventuelle toxicité. Pour le Pr. Vanderhaegen, « C'est maintenant qu'un gros effort doit être fait, d'une part en recherche fondamentale, d'autre part en recherche prétranslationnelle, pour essayer de convertir toutes ces avancées en véritable découverte, soit dans le cadre de thérapies cellulaires, soit dans le cadre de la recherche de nouveaux médicaments (2) ».

Quant à la thérapie tissulaire, elle est principalement liée à la thérapie cellulaire dans la mesure où elle porte sur la reconstitution de tissus organiques au départ d'un travail sur les cellules. Les banques de tissus offrent les matériaux de base pour sélectionner les cellules nécessaires à la thérapie envisagée, par exemple l'implantation de cellules osseuses pour des indications de fractures (3). La Belgique compte trois types d'établissements de tissus agréés : la banque de matériel corporel humain, la structure intermédiaire de matériel corporel humain et l'établissement de production (4).

Ces différentes thérapies se complètent les unes aux autres. Ainsi la thérapie génique se voit complétée par la thérapie virale (virus intégratifs dans l'ADN des cellules) et la thérapie cellulaire dont l'aboutissement, pour cette dernière, sera la réparation d'organes déficients (foie, reins, cœur, ...). Actuellement la combinaison de la thérapie génique et la thérapie cellulaire est déjà d'application pour la création de nouvelles cellules organiques (par exemple des cellules hépatiques pour le déficit en Alpha 1-Antitrypsine).

(1) Pr. P. Vanderhaegen, p. 30 : « Savoir comment produire du cortex cérébral présente un double intérêt : d'une part, pouvoir un jour remplacer les pièces endommagées du cortex cérébral via la thérapie cellulaire — il s'agit de recherches à très long terme — d'autre part, rechercher de nouveaux médicaments pour les maladies neurologiques ... »

(2) Pr. P. Vanderhaegen, p. 33.

(3) Dr. E. Bastianelli, p. 65. Les recherches sur ces produits cellulaires osseux entrent en phase clinique.

(4) M. K. Vandewoude, Expert au cabinet de la Mme Laurette Onkelinx, vice-première ministre et ministre des Affaires sociales et de la santé. p. 109.

Prof. Vanderhaegen (ULB) gebruikt pluripotente stamcellen in zijn onderzoek van de hersenschors die door de meeste neurologische (Alzheimer, epilepsie ...) en neuropsychiatrische (syndromen verwant aan autisme en schizofrenie) ziektes wordt aangetast (1). De uitdaging was om dankzij een herprogrammering van volwassen cellen, cellen te genereren die pluripotente eigenschappen hebben. De bedoeling van het aanmaken van organische cellen (bijvoorbeeld hepatocyten of een verzameling van menselijke zenuwcellen) is nieuwe medicijnen te testen, hun metabolisatie te voorspellen en hun eventuele toxiciteit te onderzoeken. Prof. Vanderhaegen zegt hierover : « Er moet nu dus een grote inspanning worden gedaan, enerzijds wat fundamenteel onderzoek betreft en anderzijds wat het onderzoek in het stadium voor de translatie betreft, om te trachten al deze ontdekkingen samen te voegen tot iets nieuws, hetzij op het vlak van celtherapie, hetzij op het vlak van onderzoek naar nieuwe geneesmiddelen » (2).

Weefseltherapie is hoofdzakelijk verbonden met celtherapie omdat het om het herstellen van organisch weefsel gaat op basis van cellen. De weefselbanken verstrekken het basismateriaal om de nodige cellen te selecteren voor een bepaalde therapie, bijvoorbeeld de implanting van botcellen bij indicaties van beenbreuken (3). In België zijn er drie types van erkende weefselinstellingen : de bank voor menselijk lichaamsmateriaal, de intermediaire structuur voor menselijk lichaamsmateriaal en de productie-instelling (4).

Die verschillende therapieën vullen elkaar aan. Zo wordt gentherapie aangevuld door virustherapie (integrerend virus in het DNA van de cellen) en celtherapie met als eindfase hiervan het herstellen van gebrekkig functionerende organen (lever, nieren, hart, ...). Momenteel wordt gentherapie met celtherapie gecombineerd om nieuwe organische cellen aan te maken (bijvoorbeeld levercellen voor Alpha 1-Antitrypsine deficiëntie).

(1) Prof. P. Vanderhaegen, blz. 30 : « Als we wisten hoe we hersenschors moeten produceren, zou dat meerdere voordelen hebben : enerzijds zouden we dan in de toekomst beschadigde delen van de hersenschors kunnen vervangen met stamceltherapie — het gaat hier om onderzoek op zeer lange termijn — en anderzijds zouden we nieuwe geneesmiddelen kunnen ontwikkelen voor de neurologische aandoeningen ... »

(2) Prof. P. Vanderhaegen, blz. 33.

(3) Dr. E. Bastianelli, blz. 65. Het onderzoek op beendercelproducten zal binnenkort in de klinische fase belanden.

(4) De heer K. Vandewoude, expert op het kabinet van mevrouw Laurette Onkelinx, vice-eersteminister en minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid, blz. 109.

2. OPPORTUNITÉS

2.1. Les perspectives thérapeutiques

Pour les patients, les thérapies innovantes ouvrent de nouvelles perspectives dans des domaines variés qui couvrent les pathologies liées à des perturbations génétiques (les maladies rares, les maladies métaboliques), les maladies dégénératives (Parkinson), les pathologies cérébrales, cardiaques, des cancers, le diabète, des maladies osseuses, les lésions du cartilage, sans parler des nouveaux médicaments sensés remplacer les antibiotiques. Les auditions ont permis d'évoquer les situations suivantes :

Les maladies rares concernent de très petits groupes de patients. Pour Mme Jageneau (RaDiOrg qui regroupe une cinquantaine d'organisations de patients) les patients sont tous confrontés aux mêmes problèmes : diagnostic tardif ou erroné, manque d'informations, stress psychologique, soucis financiers et accès limités à des soins adaptés et de qualité (1). De nombreuses maladies rares trouvent leur origine dans un séquençage génétique déficient, caractérisé par l'absence de certaines protéines. Ces maladies (Gaucher, Fabry, Hurler, Pompe, ...) sont traitées par des thérapies enzymatiques de substitution (2), ce qui est également le cas des maladies du cycle de l'urée qui touchent le foie (3).

Les tumeurs cérébrales affectent le système nerveux central. Mme Le Roy (ASBL *Werkgroep Hersentumoren*) rappelle qu'il existe cent vingt types de tumeurs cérébrales différentes qui nécessitent toutes un traitement distinct (4). Les traitements standards (chirurgie, radiothérapie et chimiothérapie) peuvent s'avérer problématiques en raison de la localisation des tumeurs (proximité du tissu cérébral fonctionnel, barrière hémato-encéphalique, ...). Des études cliniques et des études expérimentales (5) (sur la vaccina-

(1) Mme I. Jageneau, p. 124 : « L'offre de soins est très fragmentée, donc peu adaptée pour améliorer la qualité de vie. »

(2) Pr. J.-J. Cassiman, p. 10 : « Certains médicaments contre la mucoviscidose arrivent petit à petit sur le marché. »

(3) M. E. Halioua (Promethera Biosciences), p. 50. La société Promethera, spin-off de l'UCL basée sur les travaux du Pr. Etienne Sokal, travaille sur les cellules-souches collectées via une banque de tissus aux cliniques St Luc. Par exemple, le foie, siège de plusieurs maladies très rares (crigler-najjar, maladies du cycle de l'urée) bénéficie de l'enzyme replacement therapy qui permet de rétablir l'activité enzymatique déficiente.

(4) Mme L. Le Roy, *Werkgroep Hersentumoren*, p. 118 et 119 : « Il n'y a pas deux cerveaux identiques, ce qui explique pourquoi les conséquences d'une tumeur cérébrale sont fort liées à la personne. »

(5) P. 120 : l'ASBL *Werkgroep Hersentumoren* émet diverses revendications pour améliorer l'accès à ces études.

2. KANSEN

2.1. De therapeutische vooruitzichten

Voor de patiënten openen de innoverende therapieën nieuwe perspectieven op verschillende vlakken, die vaak betrekking hebben op pathologieën in verband met genetische storingen (zeldzame ziekten, stofwisselingsziekten), degeneratieve ziekten (Parkinson), hersenaandoeningen, hartziekten, kankers, diabetes, beenderziekten, kraakbeenletsels, zonder nog te spreken van geneesmiddelen die in de plaats moeten komen van antibiotica. Uit de hoorzittingen onthouden we het volgende :

De zeldzame ziekten betreffen zeer kleine aantallen patiënten. Volgens mevrouw Jageneau (RaDiOrg, dat een vijftigtal patiëntengroepen overkoepelt) krijgen de patiënten allen met dezelfde problemen te maken : late of verkeerde diagnose, gebrek aan informatie, psychologische stress, financiële problemen en beperkte toegang tot gepaste en kwaliteitsvolle verzorging (1). Veel zeldzame ziekten zijn te wijten aan een gebrekkige genetische sequentie die gekenmerkt wordt door de afwezigheid van bepaalde eiwitten. Die ziekten (Gaucher, Fabry, Hurler, Pompe, ...) worden behandeld met enzymvervangende therapieën (2), wat ook het geval is voor ziekten van de ureumcyclus die de lever aantasten (3).

Hersentumorentasten het centraal zenuwstelsel aan. Mevrouw Le Roy (VZW *Werkgroep Hersentumoren*) herinnert eraan dat er wel honderdtwintig verschillende soorten hersentumoren bestaan, die alle een specifieke behandeling vergen (4). De standaardbehandelingen (heelkunde, radiotherapie en chemotherapie) kunnen problemen geven naar gelang van de plaats van de tumor (dicht bij functioneel hersenweefsel, de bloed-hersenbarrière, ...). Er lopen op dit moment klinische en experimentele studies (5) (met

(1) Mevrouw I. Jageneau, blz. 124 : De zorg is vaak zeer gefragmenteerd en draagt weinig bij tot het verbeteren van de levenskwaliteit.

(2) Prof. J.-J. Cassiman, blz. 10 : « Sommige geneesmiddelen voor mucoviscidose komen stilaan op de markt. »

(3) De heer E. Halioua (Promethera Biosciences), blz. 50. Het bedrijf Promethera is een spin off van de Universiteit catholique de Louvain (UCL), gebaseerd op het onderzoek van professor Etienne Sokal en werkt op de stamcellen die verzameld worden via een weefselbank in het ziekenhuis St Luc. De lever is bijvoorbeeld het focuspunt van een aantal zeer zeldzame ziekten (Crigler-Najjar, ziekten van de ureumcyclus) die behandeld kunnen worden met een « enzyme replacement therapy » waardoor de activiteit van de ontbrekende enzymen wordt opgevangen.

(4) Mevrouw L. Le Roy, *Werkgroep Hersentumoren*, blz. 118 en 119 : « Geen twee hersenen zijn hetzelfde waardoor de gevolgen van een hersentumor zeer persoonsgebonden zijn. »

(5) Blz. 120 : de VZW *Werkgroep Hersentumoren* heeft daarom in verband met klinische studies meerdere vragen die moeten leiden tot een betere toegang van hersentumorpatiënten in België tot de studies.

tion, sur l'infusion intra-artérielle après manipulation de la barrière hémato-encéphalique) sont actuellement en cours.

Les pathologies cérébrales telles que la sclérose en plaques, la maladie de Parkinson et la maladie d'Alzheimer sont également concernées par l'évolution des thérapies innovantes. Les associations de patients qui couvrent ces trois maladies représentent plus de 130 000 personnes. Pour M. van der Straten Waillet (*Belgian Brain Council* (1)), l'évolution de la recherche offre de réelles perspectives à l'égard de la sclérose en plaques, alors qu'on ne pouvait pas en dire autant il y a dix ans.

Les maladies cardiaques ischémiques, c'est à dire provoquées par une artère coronaire bouchée, font l'objet de recherches au départ de cellules embryonnaires transformées en cellules cardiaques contractiles. Le processus appliqué à des cellules-souches adultes se traduit par une amélioration de la fonction cardiaque de 25 % (2). Le traitement de l'infarctus du myocarde par un procédé protéique est également soumis à « un programme de recherche.

Le diabète est directement concerné par la recherche sur les cellules-souches pour la production d'insuline (3).

Du côté des maladies osseuses, une alternative à la greffe osseuse est développée via la transformation de la moëlle osseuse en cellules collectées, mises en seringues puis ré-implantées sans chirurgie ouverte. La moitié des maladies qui font l'objet d'une greffe osseuse pourrait bénéficier d'une thérapie cellulaire (4).

Pour les lésions du cartilage, la thérapie cellulaire est en plein essor après avoir connu son heure de gloire en délivrant le premier produit sur le marché européen, le ChondroCelect® issu d'une entreprise belge (5).

(1) M. C. van der Straten Waillet, *Belgian Brain Council*, p. 130, Le BBC rassemble une vingtaine d'associations, des neurologues, des neuropsychiatres, des firmes pharmaceutiques et des associations de patients.

(2) M. C. Homsy, p. 52 et 53. La société Cardio3 Biosciences prépare les études de phase III, dernière étape avant les autorisations de mise sur le marché.

(3) Mme De Leeuw, (Beta Cell NV) p. 56-61. Le matériel de base est constitué des cellules pancréatiques d'un fœtus de porc dotées d'un potentiel d'adaptation exceptionnel. Actuellement au stade de recherche, avec la VUB.

(4) Dr. E. Bastianelli, Bone Therapeutics, p. 64. Bone Therapeutics est une spin off de l'ULB dont les travaux sont essentiellement basés à l'Hôpital Erasme. Les travaux sont en phase d'essai clinique.

(5) M. W. Dalemans, société TiGenix, *spin-off* de la KULeuven et de l'UGent, p. 61.

betrekking tot vaccineren en tot intra-arteriële infusie therapie na het doorbreken van de bloed-hersenbarrière).

Ook hersenaandoeningen als multiple sclerose, Parkinson en Alzheimer zijn het onderwerp van de innoverende therapieën. De patiëntenverenigingen voor die drie ziekten samen tellen wel 130 000 personen. De heer van der Straten Waillet (*Belgian Brain Council* (1)) meldt dat recent onderzoek nu nieuwe perspectieven biedt voor multiple sclerose, terwijl dat tien jaar geleden niet het geval was.

De ischemische hartziekten, die veroorzaakt worden door een verstopte kransslagader, worden onderzocht op basis van embryonale cellen die getransformeerd werden tot contractiele hartcellen. Door het proces toe te passen op volwassen stamcellen, verbetert de hartfunctie met 25 % (2). Ook wordt de behandeling van het hartinfarct met een proteïneprocédé onderzocht.

Diabetes heeft rechtstreeks te maken met het stamcelonderzoek, vanwege de insulineproductie (3).

Wat beenderziekten betreft wordt er een alternatief ontwikkeld voor de beenmergtransplantatie, door het beenmerg om te zetten in gecollecteerde cellen, die in spuiten worden bewaard om vervolgens zonder open operatie te worden ingebracht. De helft van de patiënten die nu een transplantatie ondergaan, zou geholpen kunnen worden door celtherapie (4).

Ook voorkraakbeenletsels is de celtherapie in opmars, na het grote succes met het eerste product dat op de Europese markt is gebracht: ChondroCelect®, geproduceerd door een Belgische onderneming (5).

(1) De heer C. van der Straten Waillet, *Belgian Brain Council*, blz. 130, De *Belgian Brain Council* (BBC) groepeerde een twintigtal verenigingen, evenals neurologen, neuropsychiaters, farmabedrijven en patiëntenverenigingen.

(2) De heer C. Homsy, blz. 52 en 53. De onderneming bereidt momenteel fase drie studies voor, de laatste stap voor het verkrijgen van de vergunningen om het product op de markt te brengen.

(3) Mevrouw De Leeuw, (Beta Cell NV) blz. 56-61. Het basismateriaal bestaat uit pancreascellen van ongeboren varkens, die een uitzonderlijke aanpassingspotentie hebben. Momenteel in het stadium van onderzoek, in samenwerking met de VUB.

(4) Dr. E. Bastianelli, Bone Therapeutics, blz. 64. Bone Therapeutics is een *spin-off* van de ULB en werkt vooral vanuit het Erasmusziekenhuis. De activiteiten zitten in de fase van de klinische proeven.

(5) De heer W. Dalemans, FirmaTiGenix, *spin-off* van de KULeuven en de UGent, blz. 61.

Les essais cliniques des médicaments de thérapie innovante, qu'ils soient portés par le milieu académique universitaire ou sponsorisés par le milieu industriel, portent donc sur un spectre très large de pathologies. Ces essais concernent actuellement le mélanome, le glioblastome, la maladie de Crohn, les fractures non consolidées, la leucémie, le cancer de la prostate, des ovaires, du poumon, la mucite buccale, l'insuffisance cardiaque, l'ostéonécrose, ... (1)

Outre l'apport à des pathologies spécifiques, la recherche porte également sur le développement de nouveaux médicaments destinés à pallier le déclin progressif des antibiotiques. Le nombre croissant de microbes résistants posera un gros problème de santé publique. Les recherches, par exemple sur les ribosomes, permettraient d'éradiquer toute une série de maladies, y compris certains cancers (2).

2.2. Opportunités pour la Belgique et ses régions

Pour le Pr. Verfaillie, si les recherches sur les cellules souches ont débuté assez tard en Belgique, de nombreuses avancées ont été réalisées ces dix dernières années dans les universités belges. Le Dr. Bastianelli (3) estime que la Belgique occupe aujourd'hui une place dans le peloton de tête. Mais, pour garder cette place, insiste le Pr. Vanderhaeghen, il faudrait investir davantage dans la recherche scientifique fondamentale (4). Et ce, même si les investissements des régions flamande et wallonne ont relancé à ce point la dynamique qu'elle permet de concurrencer les pays anglo-saxons.

Dans le domaine pharmaceutique, personne ne conteste le rôle précurseur que joue la Belgique. La tradition R&D témoigne d'un certain *leadership* européen voire mondial, eu égard au nombre d'habitants (5). Le pays compte le plus grand nombre de médicaments en développement par habitant au monde. Le nombre de patients qui participent à des études cliniques est supérieur aux autres pays. La bio-industrie en Belgique compte au total plus de deux cents entreprises biotechnologiques et grandes entreprises biopharmaceutiques (6). Et, en termes de

De klinische proeven met geneesmiddelen uit de innoverende therapieën hebben dus — ongeacht of zij door het academisch universitair milieu of door het industrieel milieu worden ondersteund — betrekking op een zeer grote verscheidenheid aan pathologieën. Die proeven betreffen momenteel het melanoom, het glioblastoma, de ziekte van Crohn, de niet herstelde fracturen, leukemie, prostaatkanker, eierstokkanker, longkanker, het mondslijmvlies, hartfalen, osteonécrose, ... (1)

Naast zijn bijdrage in het kader van specifieke pathologieën, wil het onderzoek ook nieuwe geneesmiddelen ontdekken waardoor de verminderde werkzaamheid van antibiotica kan worden opgevangen. Het stijgende aantal resistente bacteriën voor grote problemen zorgen in de gezondheidszorg. Onderzoek naar ribosomen bijvoorbeeld zou een hele reeks ziekten kunnen uitroeien, waaronder bepaalde soorten kanker (2).

2.2. Kansen voor België en de gewesten

Volgens professor Verfaillie is het stamcelonderzoek in België pas laat van start gegaan, maar is er de laatste tien jaar veel vooruitgang geboekt in Belgische universiteiten. Dr. Bastianelli (3) vindt dat België op dit moment in het koppeloton zit. Om die plaats te behouden echter, denkt professor Vanderhaeghen dat er meer geïnvesteerd moet worden in fundamenteel wetenschappelijk onderzoek (4). En dit ondanks het feit dat de investeringen van het Vlaams en Waals Gewest de dynamiek zodanig hebben aangespoord dat we ons zelfs met de Angelsaksische landen kunnen meten.

Op het vlak van de farmaceutica betwist niemand de voortrekkersrol van België. De traditie van onderzoek en ontwikkeling wijst op Europees of zelfs wereldwijd leiderschap, in verhouding tot het aantal inwoners (5). Er zijn in ons land, vergeleken met de situatie wereldwijd, per inwoner, het grootste aantal geneesmiddelen « in ontwikkeling ». Ook het aantal patiënten dat deelneemt aan klinische studies ligt hoger dan in andere landen. De Belgische bio-industrie telt meer dan tweehonderd biotechnologische en grote farmaceutische bedrijven (6). Wat de uitgaven betreft:

(1) Mme C. Beuneu (Agence fédérale des médicaments et des produits de santé), p. 42.

(2) p. 21 : « Une telle découverte sera de la même ampleur que celle de la pénicilline. »

(3) Dr. E. Bastianelli, p. 66.

(4) Pr. Vanderhaeghen, p. 38 : « Nous sommes trop dépendants de la masse critique réduite et des efforts fournis par certains chercheurs ou groupes de chercheurs. »

(5) Mme A. Hubert, *Coordinator for CO-ACT association*, p. 69.

(6) Mme C. Plasman, secrétaire générale de Bio.be, Association belge pour l'industrie et la biotechnologie, p. 70.

(1) Mevrouw C. Beuneu (Federaal Agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten), blz. 42.

(2) Blz. 21 : « Dergelijke ontdekking zal op gelijke hoogte staan met de ontdekking van penicilline. »

(3) Dr. E. Bastianelli, blz. 66.

(4) Prof. Vanderhaeghen, blz. 38 : « Men (is) te veel afhankelijk van de beperkte kritische massa en van de inspanningen van enkele individuen of groepen van onderzoekers. »

(5) Mevrouw A. Hubert, *Coordinator for CO-ACT association*, blz. 69.

(6) Mevrouw C. Plasman, Secretaris-generaal van Bio.be, Belgische vereniging van bedrijven van de biotechnologie, blz. 70.

dépenses, si la Belgique compte 2 % de la population européenne, elle totalise 8 % des dépenses en R&D pharmaceutique. Ce secteur n'a donc quasi pas souffert de la crise économique et financière.

Cette situation est cependant mise en péril par la tendance à la délocalisation vers les pays de l'ancien bloc de l'Est, ainsi que vers l'Asie et l'Amérique latine. Il convient donc d'agir de manière pro-active pour garder cet ancrage initial. En matière de vaccins, la Belgique occupe également une position de force avec l'implantation de GlaxoSmithKline. Des mesures pro-actives sont cependant attendues pour consolider cette position.

Pour ce qui relève de la capitalisation boursière, la Belgique absorbe un tiers de la capitalisation boursière européenne des entreprises de biotechnologie, pour la plupart des PME (1).

Un autre élément qui participe au leadership belge dans le domaine de la biotechnologie et des sciences du vivant tient dans le réseau très dense d'hôpitaux particulièrement compétents en matière d'administration et de mise en œuvre de nouvelles thérapies (2).

Sur le plan de l'emploi, rien que pour le secteur de la thérapie cellulaire, l'association CO-ACT qui regroupe les « *Belgian Companies Active in Cell Therapies* » représente des emplois directs de deux cent trente-trois personnes. Un chiffre qui pourrait doubler dans les cinq prochaines années. Et pour une personne engagée directement, environ 2,5 emplois indirects sont créés (3). Le soutien régional reste à cet égard déterminant. Les Régions l'ont bien compris en multipliant les incitants et les aides à ce secteur perçu plus que jamais comme porteur dans un contexte économique par ailleurs difficile.

2.3. Soutien de l'Europe

L'Europe joue surtout un rôle de régulateur, une régulation assurée par l'établissement du règlement relatif aux ATMP (*Advanced Therapy Medicinal Products*) (4) qui a abouti à la création récente du « *Committee for advanced therapy* » (CAT), nouveau comité scientifique de l'Agence européenne des médicaments. Ce comité est chargé d'appliquer les

terwijl België 2 % van de Europese bevolking vertegenwoordigt, doet het wel 8 % van de uitgaven onderzoek en ontwikkeling van farmaceutica. De sector werd bijna niet geraakt door de economische en financiële crisis.

Deze situatie staat nu wel onder druk door een trend van delokalisatie naar voormalige Oostbloklanden, Azië en Latijns-Amerika. Om de oorspronkelijke voorsprong te behouden moet men nu dus proactief handelen. Ook wat vaccins betreft staat België sterk, met de aanwezigheid van GlaxoSmithKline. Er zijn echter proactieve maatregelen nodig om deze positie te verankeren.

Wat de beurskapitalisatie betreft, staat België in voor een derde van de Europese beurskapitalisatie van de biotechnologiebedrijven, die grotendeels KMO's zijn (1).

Een ander element dat bijdraagt tot de Belgische leiderspositie op het vlak van de biotechnologie en de biowetenschappen houdt verband met het zeer dichte netwerk van ziekenhuizen die bekwaam zijn wat het beheer en de toepassing van nieuwe therapieën betreft (2).

Met betrekking tot werkgelegenheid vertegenwoordigt de vereniging CO-ACT, samengesteld uit de « *Belgian Companies Active in Cell Therapies* », alleen al voor de celtherapie rechtstreeks tweehonderddrieëndertig jobs. Dit cijfer zou de komende vijf jaar kunnen verdubbelen. Voor elke rechtsreeks tewerkgestelde persoon telt men bovendien 2,5 onrechtstreekse jobs (3). Gewestelijke ondersteuning is wat dat betreft cruciaal. De gewesten hebben dit goed begrepen en voorzien in steeds meer incentives en steunmaatregelen voor die sector, die meer dan ooit wordt beschouwd als een groeisector in een overigens moeilijke economische context.

2.3. Steun van Europa

Europa speelt vooral een regulerende rol, met als regelgeving in de eerste plaats de verordening inzake de ATMP (*Advanced Therapy Medicinal Products*) (4), die heeft geleid tot de recente oprichting van het « *Committee for advanced therapy* » (CAT), een nieuw wetenschappelijk comité van het Europees Geneesmiddelenbureau. Het comité heeft als taak de

(1) Mme A. De Beuckelaer, Flandersbio, p. 76.

(2) M. S. Van Der Siegel, chef d'équipe du département Substances d'origine humaine, Commission européenne, p. 82.

(3) Mme A. Hubert, *Coordinator for CO-ACT association*, p. 54.

(4) Mme C. Beuneu (Agence fédérale des médicaments et des produits de santé), p. 39-41.

(1) Mevrouw A. De Beuckelaer, Flandersbio, blz. 76.

(2) De heer S. Van Der Siegel, team leader, Stoffen van menselijke oorsprong, Europese Commissie, blz. 83.

(3) Mevrouw A. Hubert, *Coordinator for CO-ACT association*, blz. 54.

(4) Mevrouw C. Beuneu (Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten), blz. 39-41.

règles spécifiques de mise sur le marché, les procédures de classification et de certification des ATMP.

L'Europe est également à la base du concept d'exemption hospitalière dont l'application relève des compétences nationales. Il s'agit de l'autorisation de développer et utiliser un nouveau médicament ATMP par un médecin en milieu hospitalier (en l'occurrence à caractère ponctuel et extrêmement individuel) sans devoir remplir toutes les obligations imposées aux médicaments. Ce qui pose, par la suite, des problèmes d'accessibilité, de concurrence et de mise sur le marché. Une révision de la réglementation européenne est en cours (1). Ces difficultés sont soulignées par l'association CO-ACT qui regroupe cinq sociétés actives dans les produits de thérapie cellulaire. Ceci étant, l'Europe devra accélérer les procédures d'homologation des médicaments aujourd'hui particulièrement lourdes et longues.

L'Europe mène également une réflexion sur ce que l'on peut attendre des thérapies innovantes. M. Van der Spiegel, représentant du département Substances d'origine humaine, de la Commission européenne, estime qu'il faut déterminer au préalable ce que doit être la valeur ajoutée de ces thérapies, quels sont les principaux besoins des patients et dans quels domaines les responsables politiques sont prêts à investir en cette période où les moyens financiers se raréfient (2).

L'Europe impose à chaque État membre de disposer, pour 2013, d'un plan national relatif aux maladies rares.

3. DÉFIS

3.1. Les défis pour les Patients

3.1.1. Implication et expertise

Les associations de patients connaissent une croissance qui les positionnent de plus en plus comme partenaires de l'évolution de la recherche dans les thérapies innovantes. Conscients de leur statut d'experts pour leurs propres maladies, les patients demandent à être impliqués dans les différentes phases de la recherche (3). Par ailleurs, le positionnement du monde scientifique évolue. En consultant davantage

(1) M. B. Sekkaki (Agence fédérale des médicaments et des produits de santé), p. 47.

(2) M. S. Van der Spiegel, *op. cit.*, p. 86, qui évoque une étude menée dans les différents États membres de l'Union, d'où il ressort que le progrès thérapeutique et clinique soit le premier objectif partagé par tous les pays membres.

(3) Pr. J.-J. Cassiman, *op. cit.*, p. 13, qui évoque l'exemple de l'Angleterre où des patients et associations de patients ont communiqué leurs constatations concernant les modalités de développement de nouveaux médicaments.

spécifiques regels toe te passen voor het op de markt brengen en de classificatie- en certificeringsprocedures van de ATMP.

Europa heeft ook het begrip van de ziekenhuisvrijstelling gelanceerd, dat wordt toegepast onder nationale bevoegdheid. Het gaat erom dat een nieuw ATMP-geneesmiddel wordt ontwikkeld en gebruikt door een arts, in een ziekenhuisomgeving (hier dus *ad hoc* en zeer individueel bedoeld) zonder te moeten voldoen aan alle verplichtingen die gelden voor geneesmiddelen. Daarna komen de problemen van toegankelijkheid, concurrentie en marktlancering. Er wordt gewerkt aan een revisie van de Europese regelgeving (1). Deze moeilijkheden worden benadrukt door de vereniging CO-ACT, die is samengesteld uit vijf ondernemingen die actief zijn op het gebied van de celtherapie. Europa zal wel de erkenningsprocedures voor geneesmiddelen moeten versnellen, die vandaag zeer zwaar en lang zijn.

Op Europees niveau wordt ook nagedacht over de verwachtingen die we van de innoverende therapieën hebben. De heer Van der Spiegel, vertegenwoordiger van de afdeling Stoffen van menselijke oorsprong van de Europese Commissie, vindt dat we beter vooraf kunnen nadenken waar de toegevoegde waarde moet gerealiseerd worden, waar de grote patiëntennoden zijn en waar het beleid voor wil betalen in een tijd waar steeds minder financiële middelen ter beschikking staan (2).

Europa wil dat alle lidstaten tegen 2013 beschikken over een nationaal plan betreffende de zeldzame ziekten.

3. UITDAGINGEN

3.1. Uitdagingen voor de patiënten

3.1.1. Betrokkenheid en deskundigheid

De patiëntenverenigingen beleven een groei waardoor ze zich steeds meer aandienen als partners in de ontwikkeling van het onderzoek naar innoverende therapieën. Patiënten zijn zich bewust van hun status van deskundigen in hun eigen ziekte en vragen om bij de diverse fasen van het onderzoek betrokken te worden (3). Overigens is de opstelling van de wetenschappelijke wereld aan het veranderen. Door de

(1) De heer B. Sekkaki (Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten), blz. 47.

(2) De heer S. Van der Spiegel, *op. cit.*, blz. 86, verwijst naar een studie die in verschillende Europese lidstaten werd gevoerd en die aantoont dat voor alle lidstaten de therapeutische en klinische vooruitgang de voornaamste doelstelling is.

(3) Prof. J.-J. Cassiman, *op. cit.*, blz. 13, die op het voorbeeld van Engeland wijst, waar patiënten en patiëntenvertegenwoordigers hun bevindingen samenbrachten over hoe de ontwikkeling van nieuwe geneesmiddelen moet gebeuren.

les patients, les scientifiques recueillent des mines d'informations (1).

Ce qui n'est pas sans poser certaines questions. Liées entre autre à l'émergence d'attentes trop élevées, comme c'est le cas par exemple avec la sclérose en plaques (2). Ou dans le cadre de la circulation d'informations fausses ou inadéquates. Ce constat a conduit l'Europe à dégager des fonds pour éditer des dépliants sur différents tests en vingt-cinq langues et créer une Académie européenne dont l'objectif est de fournir des informations neutres et objectives (3) aux patients et de les impliquer comme des professionnels de santé.

En Belgique, les patients sont représentés par deux associations faïtières de patients, l'une néerlandophone, la *Vlaams Patiënten Platform* (VPP) qui compte une centaine d'associations, l'autre, francophone, la Ligue des usagers des services de santé (LUSS) qui rassemble quatre-vingt associations. Ces associations poursuivent des buts semblables : renforcer la participation des patients à la politique sanitaire (4). La VPP a défini une série de critères pour reconnaître le caractère innovant des thérapies innovantes : l'implication des patients en premier lieu, ensuite l'efficacité de l'innovation, l'accessibilité financière et l'accès à des informations fiables et compréhensibles, la protection de la vie privée, la sécurité et l'intégration de la nouvelle thérapie dans un processus de soin.

Dans le secteur des maladies rares, l'ASBL RaDiOrg travaille sur la « *Patients Academy* » (5) dont l'objectif est de former les patients pour qu'ils puissent jouer leur rôle en tant que partenaire reconnu à l'égard des acteurs scientifiques et médicaux.

Les associations de patients souhaitent également être associés dans le processus de remboursement des médicaments, un processus jugé trop peu transparent. Une recherche de la Fondation Roi Baudouin, en collaboration avec le KCE, est actuellement en cours à ce sujet (6).

(1) M. C. van der Straten Waillet, *op. cit.*, p. 131.

(2) M. S. Van der Spiegel, *op. cit.*, p. 84.

(3) M. M. Goldman, *executive director Innovative Medicines Initiative* (IMI), p. 89, estime qu'il est essentiel de garantir au mieux l'indépendance de ces associations et de prévoir des moyens suffisants pour encourager le dialogue des patients avec leur entourage et avec la société.

(4) Mme Ilse Weeghmans, *Vlaams Patiënten Platform*, p. 125-127.

(5) Mme I. Jageneau, RaDiOrg ASBL, p. 125, évoque le projet Europlan qui vise à harmoniser au niveau européen la lutte contre les maladies rares.

(6) Mme I. Weeghmans, *op. cit.*, p. 129 : « Le premier volet de cette étude est terminé, le second en préparation. » Citons que l'étude est accessible via le lien <https://kce.fgov.be/fr/publication/report/mod%C3%A8les-pour-l%E2%80%99implication-des-citoyens-et-des-patients-dans-les-politiques-de-so>.

patiënten te consulteren, verzamelen de wetenschappers schatten aan informatie (1).

Dat doet toch bepaalde vragen rijzen. Dat heeft onder andere te maken met het ontstaan van te hooggespannen verwachtingen, zoals dat bijvoorbeeld het geval is met multiple sclerose (2). Of met het rondgaan van valse of onvolledige informatie. Als gevolg van die vaststelling heeft Europa fondsen vrijgemaakt om in vijftientig talen folders uit te geven over diverse tests en een Europese Academie op te richten met als doel neutrale en objectieve informatie te verstrekken (3) aan de patiënten en hen als gezondheidsprofessionals bij het onderzoek te betrekken.

In België worden de patiënten vertegenwoordigd door twee overkoepelende patiëntenverenigingen, een Nederlandstalige, het Vlaams Patiënten Platform (VPP), dat uit een honderdtal verenigingen bestaat, en een Franstalige, de *Ligue des usagers des services de santé* (LUSS), die tachtig verenigingen telt. Die verenigingen hebben vergelijkbare doelstellingen : de participatie van de patiënten bij het gezondheidsbeleid versterken (4). Het VPP heeft een aantal criteria vastgelegd om het innoverende van de innoverende therapieën te erkennen : eerst en vooral de betrokkenheid van de patiënten en vervolgens de efficiëntie van de innovatie, de financiële toegankelijkheid en de toegang tot betrouwbare en begrijpelijke informatie, de bescherming van de privacy, de veiligheid en het opnemen van de nieuwe therapie in een zorgproces.

In de sector van de zeldzame ziekten werkt de VZW RaDiOrg rond de « *Patients Academy* » (5), die als doelstelling heeft patiënten te vormen opdat ze hun rol kunnen spelen als erkend partner van de wetenschappelijke en medische actoren.

De patiëntenverenigingen wensen ook betrokken te worden bij het proces van de terugbetaling van de geneesmiddelen, een proces dat te weinig transparant wordt geacht. Er loopt hierover momenteel een onderzoek van de Koning Boudewijnstichting, in samenwerking met het KCE (6).

(1) De heer C. van der Straten Waillet, *op. cit.*, blz. 131.

(2) De heer S. Van der Spiegel, *op. cit.*, blz. 84.

(3) De heer M. Goldman, *executive director Innovative Medicines Initiative* (IMI), blz. 89, meent dat het essentieel is dat deze verenigingen zo onafhankelijk mogelijk zijn, ook financieel en dat men in voldoende middelen voorziet voor de dialoog van de patiënten en hun omgeving met de samenleving.

(4) Mevrouw Ilse Weeghmans, *Vlaams Patiënten Platform*, blz. 125-127.

(5) Mevrouw I. Jageneau, RaDiOrg VZW, blz. 125, heeft het over het Europlan-project, dat strekt om de strijd tegen de zeldzame ziekten op Europees niveau te stroomlijnen.

(6) Mevrouw I. Weeghmans, *op. cit.*, blz. 129 : « Het eerste deel van deze studie is afgerond en het tweede deel staat in de steigers. » Deze studie kan hier worden geraadpleegd : <https://kce.fgov.be/nl/publication/report/modellen-voor-burger-en-pati%C3%ABntenparticipatie-in-het-gezondheidszorgbeleid-deel-1>.

Dans ce souci de répondre à cette demande d'implication des patients, la ministre des affaires sociales et de la santé a annoncé la commande d'une étude visant à préciser les conditions d'implication des associations de patients dans les procédures d'évaluation et d'avis de la Commission des médicaments (1).

3.2. Les défis pour les pouvoirs publics

3.2.1. Prendre en considération les exigences éthiques

Une des premières questions éthiques porte sur le fait d'autoriser ou non la recherche sur les embryons. Aujourd'hui chaque pays peut déterminer lui-même ce qui est admissible ou pas (2). Pour le don et l'obtention du matériel humain, la législation européenne définit une base volontaire non rémunérée, il ne peut donc pas y avoir commerce de matériel corporel humain. Les thérapies avancées ont par contre le statut de médicament et peuvent faire l'objet de commerce.

Une nouvelle question éthique émerge, en termes de prévention, à propos de la maîtrise des risques liés à la médecine personnalisée. Cette maîtrise est aujourd'hui théoriquement possible au départ de la connaissance des données génétiques (carte ADN) combinée à des facteurs épigénétiques. Le Pr. Cassiman pose la question de savoir ce qu'il en est si pareille prévention devient obligatoire, qu'en est-il à l'égard de celui qui la néglige (3). Sera-t-il puni ? Ou devra-t-il supporter lui-même tous les coûts s'il n'a pas tout mis en œuvre pour rester en bonne santé, puisque la prévention sera définitivement possible (4).

L'accessibilité croissante des tests génétiques pose l'urgence d'une cartographie de l'ensemble des défis éthiques et juridiques en tenant compte du contexte européen et international.

3.2.2. Maîtriser les coûts des nouvelles thérapies et assurer la pérennité des mécanismes de solidarité

Le sujet du coût de la recherche, du prix du médicament et de son remboursement mobilise l'attention de tous les acteurs : patients, secteur privé, autorités publiques, mutuelles et organismes assureurs.

(1) M. K. Vandewoude, p. 113.

(2) M. S. Van der Spiegel, *op. cit.*, p. 85.

(3) Pr. J.-J. Cassiman, *op. cit.*, p. 9, qui ajoute que ces stratégies seraient sans doute plus efficaces sur le plan économique, mais sont-elles acceptables ?

(4) Pr. J.-J. Cassiman, *op. cit.*, p. 15.

Om aan die vraag tot betrokkenheid van de patiënten tegemoet te komen, heeft de minister van sociale zaken en volksgezondheid de bestelling aangekondigd van een onderzoek dat de voorwaarden moet bepalen om de patiëntenverenigingen te betrekken bij de evaluatie- en adviesprocedures van de Commissie tegemoetkoming geneesmiddelen (1).

3.2. Uitdagingen voor de overheid

3.2.1. De ethische vereisten in overweging nemen

Een hele belangrijke ethische overweging is bijvoorbeeld het al dan niet toestaan van onderzoek op basis van embryo's. Vandaag kan elk land voor zichzelf beslissen wat toelaatbaar is en wat niet (2). Voor de donatie en het verkrijgen van menselijk materiaal bepaalt de Europese wetgeving een basis om het vrijwillig en onbetaald ter beschikking te stellen, er mag dus geen handel worden gedreven in menselijk lichaamsmateriaal. Geavanceerde therapieën hebben echter de status van geneesmiddel en mogen verhandeld worden.

Er duikt een nieuw ethisch vraagstuk inzake preventie op, in verband met de beheersing van de risico's van de geïndividualiseerde geneeskunde. Die beheersing is vandaag theoretisch mogelijk aan de hand van de kennis van de genetische gegevens (DNA-kaart) in combinatie met epigenetische factoren. Professor Cassiman vraagt hoe het zit wanneer dergelijke preventie verplicht wordt, wat er gebeurt met wie die preventie verwaarloost (3). Wordt die persoon gestraft ? Of moet hijzelf alle kosten dragen indien hij niet al het mogelijke gedaan heeft om in goede gezondheid te blijven, aangezien preventie nu eenmaal mogelijk is (4).

De groeiende toegankelijkheid van de genetische tests maakt dat alle ethische en juridische problemen, rekening houdend met de Europese en internationale context, dringend in kaart moeten worden gebracht.

3.2.2. De kosten beheersen van de nieuwe therapieën en de duurzaamheid van de solidariteitsmechanismen verzekeren

Het thema van de kostprijs van het onderzoek, de prijs van het geneesmiddel en de terugbetaling ervan houdt alle actoren bezig : patiënten, privésector, overheidsdiensten, ziekenfondsen en verzekeringsinstellingen.

(1) De heer K. Vandewoude, blz. 113.

(2) De heer S. Van der Spiegel, *op. cit.*, blz. 85.

(3) Prof. J.-J. Cassiman, *op. cit.*, blz. 9, die eraan toevoegt dat die strategieën waarschijnlijk economisch efficiënter zijn, maar zijn ze acceptabel ?

(4) Prof. J.-J. Cassiman, *op. cit.*, blz. 15.

Certaines thérapies représentent un coût particulièrement élevé. Même si, dans certains cas, par exemple un traitement à base de cellules tissulaires, l'administration ne s'effectue qu'une seule fois. Ce qui fait dire à M. Belaïd Sekkaki que le coût global d'un traitement de ce type n'est pas forcément plus cher que le coût d'un autre traitement qu'il faut administrer régulièrement (1).

Mais la question reste posée de savoir comment assurer le financement de médicaments dont les investissements sont considérables alors qu'ils bénéficient à un nombre restreint de patients. Comme c'est le cas pour les médicaments orphelins. Pour le Collège intermutualiste national (CIN), il s'agit de garder une marge de manœuvre pour des soins de santé de qualité pour l'ensemble de la population (2). Et, à propos de certains médicaments orphelins, la question de l'efficacité reste encore posée. Dans le débat sur le caractère innovant d'un produit, le CIN estime que la valeur de l'innovation réside essentiellement dans le bénéfice clinique qu'elle représente pour le patient.

Le budget des soins de santé est soumis à une pression croissante due à trois facteurs : le vieillissement de la population, l'augmentation exponentielle du nombre de maladies chroniques, et l'apparition sur le marché de médicaments innovants mais très onéreux (3). On peut y ajouter la pression exercée sur les recettes de la sécurité sociale. C'est dans ce champ de tension que se situe l'enjeu qui consiste à maintenir une base d'assurance valable pour tous tout en préservant le principe de solidarité. De façon à répondre aux besoins de traitement de patients se trouvant dans une situation exceptionnelle, par exemple atteints d'une maladie orpheline.

Un des risques est de favoriser l'émergence d'une médecine à deux vitesses et de mettre dès lors en péril le concept même de solidarité. Car, comme l'énonce la VPP, on peut se demander si chaque citoyen sera encore disposé à cotiser si certains médicaments ne sont accessibles qu'à une partie de la population (4).

Il apparaît évident que toutes les innovations ne pourront pas être toutes financées ni remboursées. Actuellement le système de remboursement n'intègre quasi pas les thérapies innovantes, elles ne sont pas prises en considération pour le MAF (5). Il faut cependant nuancer cette affirmation car le MAF prend

Sommige therapieën zijn bijzonder duur. Zelfs wanneer men de behandeling slechts een keer moet ondergaan, bijvoorbeeld bij een behandeling met cellen van weefsels. Daaruit besluit de heer Belaïd Sekkali dat de globale kostprijs van een dergelijke behandeling niet specifiek duurder is dan andere behandelingen die men op geregelde tijdstippen moet ondergaan (1).

De vraag blijft evenwel hoe geneesmiddelen moeten worden gefinancierd waarvoor aanzienlijk wordt geïnvesteerd, terwijl ze slechts een beperkt aantal patiënten ten goede komen. Dat is het geval voor de weesgeneesmiddelen. Volgens het Nationaal Intermutualistisch College (NIC) gaat het om het houden van ruimte voor kwalitatieve gezondheidszorg voor het geheel van de bevolking (2). En de vraag over de efficiëntie blijft open voor bepaalde weesgeneesmiddelen. In het debat inzake het innoverende aspect van een product, meent het NIC dat de waarde van de innovatie hoofdzakelijk te vinden is in het klinische voordeel voor de patiënt.

Het budget van de gezondheidszorg staat onder toenemende druk als gevolg van drie factoren : de vergrijzing, de exponentiële stijging van het aantal chronische ziekten en het verschijnen op de markt van innoverende, maar heel dure geneesmiddelen (3). Daarbij komt nog de druk op de ontvangsten van de sociale zekerheid. In dat spanningsveld moet men erin slagen een degelijke verzekeringsbasis voor allen te handhaven en het solidariteitsbeginsel te behouden. Aldus moet men de behandelingsbehoefte kunnen beantwoorden van patiënten die zich in een uitzonderlijke situatie bevinden, bijvoorbeeld omdat ze een weesziekte hebben.

Een van de risico's is dat men een geneeskunde met twee snelheden doet ontstaan en dat men daardoor het concept van de solidariteit in gevaar brengt. Want, zoals het VPP het zegt, indien slechts een deel van de bevolking geholpen zal zijn met een geneesmiddel, is iedereen dan wel bereid om hiervoor te blijven betalen (4) ?

Het lijkt evident dat men niet alle innoverende therapieën zal kunnen financieren of terugbetalen. Momenteel neemt het terugbetalingsstelsel de innoverende therapieën nagenoeg niet op, ze tellen niet mee voor MAF (5). Men moet die stelling echter nuanceren, want MAF neemt het remgeld op voor de

(1) M. B. Sekkaki, *op. cit.*, p. 47.

(2) M. F. Niesten, Collège intermutualiste national, p. 91.

(3) M. Van Hul, Collège intermutualiste national, p. 92.

(4) Mme I. Weeghmans, *op. cit.*, p. 128 : « Il faut réfléchir à la manière de concevoir le système de santé (incluant les thérapies innovantes) pour garantir la solidarité, y compris les générations futures. »

(5) Mme Weeghmans, p. 129.

(1) De heer B. Sekkaki, *op. cit.*, blz. 47.

(2) De heer F. Niesten, Nationaal Intermutualistisch College, blz. 91.

(3) De heer Van Hul, Nationaal Intermutualistisch College, blz. 92.

(4) Mevrouw I. Weeghmans, *op. cit.*, blz. 128 : « [...] dat moet nagedacht worden over de wijze waarop we het gezondheidssysteem, inclusief innovatieve therapieën, kunnen klaarstomen om de solidariteit te waarborgen, ook voor de volgende generaties. »

(5) Mevrouw Weeghmans, blz. 129.

en considération les tickets modérateurs pour les prestations remboursées par l'assurance maladie. Toujours est-il qu'il conviendra de faire des choix, des arbitrages qui tiendront compte du caractère vraiment novateur et efficace des produits proposés. Ce qui impose de disposer d'outils de mesure permettant de déterminer la classe d'innovation du produit et l'utilité clinique (1).

Si l'impact financier des thérapies personnalisées pose les questions de solidarité et d'accessibilité financière, l'évolution des connaissances des maladies rares se traduit par une meilleure maîtrise des mécanismes moléculaires qui permet un classement plus pointu d'autres maladies et donc des mécanismes de traitement à y associer. Par exemple on identifie aujourd'hui plus de dix cancers du sein différents en fonction des fondamentaux qui y sont à l'origine. Il s'agit bien de progrès qui ont une portée générale.

La question finale est de pouvoir déterminer les besoins primordiaux pour la société. Ce qui n'est pas simple et qui relève, selon Mme De Nys, présidente de la Commission de remboursement des médicaments, d'une décision politique qui doit être soutenue par de très bonnes directives nationales (2) qui souvent n'existent pas.

3.2.3. Renforcer le positionnement de la Belgique

Il a été démontré que la Belgique se positionnait particulièrement bien dans le nombre de recherches, d'études et d'essais cliniques. Il n'empêche que ce positionnement doit être renforcé par une simplification de la procédure actuelle des études cliniques. Il s'agit d'une revendication portée par de nombreux acteurs. Le « *Werkgroep Hersentumoren* » suggère à ce propos la création d'un Comité central éthique belge (3).

La ministre des affaires sociales, consciente de cette situation, a demandé à l'AFMPS (Agence fédérale des médicaments et des produits de santé) d'évaluer de manière approfondie tous les processus et de les adapter pour que les demandes puissent être traitées plus facilement et plus vite et d'une manière efficace et de qualité (4).

(1) M. Van Hul, *op. cit.*, p. 93.

(2) Mme K. De Nys, p. 100: « On a sans nul doute besoin d'associations professionnelles indépendantes et scientifiquement sérieuses, qui soient en mesure d'émettre des directives pouvant servir de base à la prise de décision. »

(3) Mme L. Le Roy, *op. cit.*, p. 121, qui précise qu'« il faut parfois plus de six mois pour qu'une étude puisse démarrer ».

(4) M. K. Vandewoude, *op. cit.*, p. 112.

verstrekkingen die door de ziekteverzekering worden terugbetaald. Er zullen toch keuzes moeten worden gemaakt, arbitrages waarbij rekening wordt gehouden met het werkelijk innoverende en efficiënte karakter van de voorgestelde producten. Daarvoor heeft men meetinstrumenten nodig die de innovatieklasse van het product en het klinisch nut meten (1).

Terwijl de financiële impact van de geïndividualiseerde therapieën de problemen van de solidariteit en de financiële toegankelijkheid doet rijzen, vertaalt de ontwikkeling van de kennis van de zeldzame ziekten zich in een betere beheersing van de moleculaire mechanismen, waardoor een fijnere rangschikking van andere ziekten, en dus ook van de behandelingsmechanismen ervoor, mogelijk wordt. Vandaag onderscheidt men bijvoorbeeld meer dan tien verschillende borstkankers, afhankelijk van de oorzaken ervan. Het gaat om heel wat doorbraken met een algemene draagwijdte.

Het uiteindelijke probleem is dat men de primordiale behoeften voor de samenleving moet kunnen bepalen. Dat is niet gemakkelijk en dat vergt, volgens mevrouw De Nys, voorzitter van de Commissie tegemoetkoming geneesmiddelen, een politieke beslissing die gesteund moet worden door heel goede nationale richtlijnen (2), die er vaak niet zijn.

3.2.3. De positie van België versterken

Het is aangetoond dat de positie van België wat het aantal onderzoeken, studies en klinische proeven betreft uitstekend was. Dat belet niet dat die positie moet worden versterkt door een vereenvoudiging van de huidige procedure van de klinische studies. Het is een eis die door talrijke actoren gedragen wordt. De « *Werkgroep Hersentumoren* » stelt hiertoe de oprichting voor van een centraal Belgisch ethisch comité (3).

De minister van Sociale Zaken is zich daarvan bewust en heeft dan ook het FAGG (Federaal Agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten) gevraagd om alle processen grondig te evalueren en aan te passen, zodat de aanvragen gemakkelijker, sneller en doeltreffender behandeld kunnen worden (4).

(1) De heer Van Hul, *op. cit.*, blz. 93.

(2) Mevrouw K. De Nys, blz. 100: « [...] er is ongetwijfeld meer nood aan onafhankelijke, wetenschappelijk gefundeerde beroepsverenigingen. Die kunnen dan richtlijnen uitschrijven die als basis kunnen dienen voor het nemen van beslissingen. »

(3) Mevrouw L. Le Roy, *op. cit.*, blz. 121, verklaart: Nu duurt het soms meer dan zes maanden voor een studie kan starten ».

(4) De heer K. Vandewoude, *op. cit.*, blz. 112.

Une autre condition du développement de la recherche clinique est de garantir le remboursement des prestations ordinaires pour les patients admis à une étude clinique et non plus de reporter ces coûts à charge du sponsor. Une concertation est prévue avec tous les acteurs (AFMPS, INAMI, Autorités académiques et représentants du secteur pharmaceutique) (1).

La ministre souhaite également revoir les priorités de l'AFMPS fixées lors de sa création, tout comme elle estime indispensable de réformer la Commission des médicaments qui est dans le giron de l'AFMPS, de façon à mieux prendre en considération le rapport bénéfices-risques dans le développement d'un médicament et dans l'amélioration de l'accès aux médicaments prometteurs (2).

Les enjeux du renforcement de la collaboration entre les acteurs a été soulignée par de nombreux experts auditionnés. Dans ce contexte, il convient de soutenir la recherche translationnelle (3), aussi appelée recherche de transfert, qui fait référence aux recherches menées en partie en laboratoires, dans les hôpitaux et dans les firmes pharmaceutiques. Les accords de coopération entre hôpitaux, même de réseaux différents, devront être également renforcés. Pour Mme Weeghmans « Rien n'empêche un hôpital universitaire de conclure un accord de coopération avec un hôpital régional de manière à garantir un bon suivi du patient (4) ».

À propos de l'exemption hospitalière qui fait l'objet de nombreuses questions, un projet de réglementation a été préparé par l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (5) qui est en contact avec les hôpitaux de manière à établir la liste des produits concernés et de baliser la mise en œuvre de cette exemption (6).

La législation belge opère une distinction entre la thérapie cellulaire à usage autologue (réinjection au donneur de son propre matériel corporel traité au niveau industriel) et celle à usage allogène. Par exemple : le ChondroCelect® est un produit autologue destiné à la réparation du cartilage (du propre donneur).

Les producteurs de thérapies autologues peuvent être reconnus comme établissement de production, alors que pour les thérapies allogènes les producteurs

Een andere voorwaarde voor de ontwikkeling van het klinisch onderzoek is de terugbetaling van de gebruikelijke verstrekkingen te waarborgen voor patiënten die opgenomen zijn in een klinische studie en de sponsor niet met die kosten op te zadelen. Er is overleg gepland met alle actoren (FAGG, RIZIV, Academische overheid en vertegenwoordigers van de farmaceutische sector) (1).

De minister wenst ook de prioriteiten van het FAGG, die bij de oprichting ervan werden vastgelegd, te herzien, zoals ze het onontbeerlijk acht dat de Geneesmiddelencommissie in het FAGG wordt hervormd, om beter rekening te houden met de « *benefit-risk* »-verhouding bij de ontwikkeling van een geneesmiddel en bij de verbetering van de toegang tot veelbelovende geneesmiddelen (2).

Heel wat deskundigen op de hoorzittingen hebben onderstreept hoe belangrijk het is dat de samenwerking tussen de actoren wordt opgevoerd. In die context is het raadzaam het translationeel onderzoek te ondersteunen (3). Het zorgt voor de overdracht van de kennis en steunt op onderzoek dat zich gedeeltelijk in laboratoria, ziekenhuizen en farmaceutische bedrijven afspeelt. De samenwerkingsovereenkomsten tussen ziekenhuizen, zelfs van verschillende netten, moeten eveneens worden versterkt. Mevrouw Weeghmans stelt: « [Maar] niets staat een samenwerking tussen een universitair en een regionaal ziekenhuis in de weg, waardoor een goede opvolging van de patiënt verzekerd is (4). »

Voor de ziekenhuisuitzondering, waarover heel wat vragen werden gesteld, heeft het Federaal Agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten een ontwerp van reglementering voorbereid (5). Het Agentschap staat in contact met de ziekenhuizen om de inventaris van de betreffende producten op te maken en de krijtlijnen te trekken voor de toepassing van die uitzondering (6).

De Belgische wetgeving maakt een onderscheid tussen celtherapie voor autoloog gebruik (het eigen lichaamsmateriaal wordt na industriële behandeling opnieuw ingebracht bij de donor) en celtherapie voor allogene gebruik. Een voorbeeld : ChondroCelect® is een autoloog product dat gebruikt wordt om kraakbeenletsels (bij de donor zelf) te herstellen.

De producenten van autologe therapieën kunnen worden erkend als productie-instelling, terwijl de producenten van allogene therapieën afhankelijk zijn

(1) M. K. Vandewoude, *op. cit.*, p. 112.

(2) M. K. Vandewoude, *op. cit.*, p. 113.

(3) Mme L. Le Roy, *op. cit.*, p. 122: « La recherche translationnelle permet le transfert et l'interprétation rapide des connaissances vers des applications thérapeutiques. »

(4) Mme I. Weeghmans, *op. cit.*, p. 137.

(5) M. B. Sekkaki, *op. cit.*, p. 48.

(6) M. K. Vandewoude, *op. cit.*, p. 118.

(1) De heer K. Vandewoude, *op. cit.*, blz. 112.

(2) De heer K. Vandewoude, *op. cit.*, blz. 1123.

(3) Mevrouw L. Le Roy, *op. cit.*, blz. 122: « Translationeel onderzoek vormt deze schakel en zorgt voor de overdracht en de snelle vertaling van kennis naar behandelingen. »

(4) Mevrouw I. Weeghmans, *op. cit.*, blz. 137.

(5) De heer B. Sekkaki, *op. cit.*, blz. 48.

(6) De heer K. Vandewoude, *op. cit.*, blz. 118.

sont dépendants des banques de matériel corporel humain accréditées auprès des hôpitaux. Et ces banques ne sont pas nombreuses.

Mme A. Hubert (1) rappelle que cette situation pose un énorme problème pour les sociétés, en termes d'approvisionnement en matières premières mais aussi pour l'importation et l'exportation de leurs produits. Cette situation n'est pas de nature à attirer les investisseurs étrangers. Le risque est également de voir se délocaliser les activités de production des thérapies cellulaires allogéniques vers des pays avoisinants où existe un cadre législatif plus souple.

Il a été rappelé à plusieurs reprises que, malgré son positionnement favorable, la Belgique, depuis 2000, ne respecte toujours pas la norme de 3 % d'investissement dans la recherche (Lisbonne).

3.3. Les défis pour les entreprises

3.3.1. Trouver des solutions au besoin de financement

Les procédés de production tout comme les études cliniques complexes sont très onéreuses. Les sources de financement sont, dans certains cas, un mixte d'investisseurs internationaux et d'investisseurs publics (les régions qui investissent et/ou formulent des avances récupérables) (2). Les enjeux se traduisent toujours par une croissance de l'emploi. En trois ans, la société Promethera est passée de deux à quarante-six personnes.

Pour Cardio3 Biosciences, le problème est la difficulté d'accès au capital local pour tout ce qui est très en avance dans le développement (3). Cette entreprise annonce qu'elle pourrait passer de cinquante-trois employés à plus de cinq cents dans les cinq ans à venir.

3.3.2. Évaluer l'intérêt thérapeutique des investissements

Les attentes des entreprises sont nourries par les efforts financiers très importants qu'elles consentent. Selon M. Van der Spiegel (Commission européenne) ce retour sur investissement alimente le champ des tensions dans lequel évoluent l'innovation et les thérapies innovantes (4). La rentabilité d'un produit

van de door ziekenhuizen erkende banken voor menselijk lichaamsmateriaal. En die banken zijn niet talrijk.

Mevrouw A. Hubert (1) wijst erop dat die toestand een enorm probleem is voor de bedrijven, niet alleen voor hun bevoorrading in basismateriaal, maar ook voor de in- en uitvoer van hun producten. Het is een toestand die niet gunstig is voor het aantrekken van buitenlandse investeerders. Het risico bestaat ook dat productie-activiteiten van allogene celtherapieën verplaatst worden naar buurlanden met een soepeler wettelijk kader.

Meer dan eens is eraan herinnerd dat België ondanks zijn gunstige positie de norm van 3 % investeringen in onderzoek (Lissabon) sinds 2000 niet eerbiedigt.

3.3. Uitdagingen voor de ondernemingen

3.3.1. Oplossingen vinden voor de financieringsbehoefte

Zowel de productieprocedures als de complexe klinische onderzoeken zijn heel duur. In sommige gevallen zijn de financieringsbronnen een mix van internationale investeerders en overheidsinvesteerders (de gewesten die investeren en/of terugbetaalbare voorschotten verstrekken) (2). Steeds staat een toename van de werkgelegenheid op het spel. In drie jaar tijd groeide de onderneming Promethera van 2 naar zesenvertig mensen.

Voor Cardio3 Biosciences is het probleem dat er weinig plaatselijk kapitaal voor handen is voor zeer vernieuwende ontwikkelingen (3). Die onderneming kondigt aan dat ze in de komende vijf jaar kan groeien van drieënvijftig naar meer dan vijfhonderd werknemers.

3.3.2. Het therapeutisch belang van de investeringen evalueren

De verwachtingen van de ondernemingen worden opgevoerd door de zeer aanzienlijke financiële inspanningen die ze leveren. Volgens de heer Van der Spiegel (Europese Commissie) schept de verwachte return on investment het spanningsveld waarbinnen de innovatie en de innoverende therapieën leven (4). De

(1) Mme A. Hubert (CO-ACT association), p. 55.

(2) M. E. Halioua (Promethera Biosciences), p. 52.

(3) M. C. Homsy (Cardio3 Biosciences), p. 53. Le risque du changement d'actionnariat se traduirait par une perte d'identité belge et de localisation en Belgique.

(4) M. S. Van der Spiegel, *op. cit.*, p. 84.

(1) Mevrouw A. Hubert, *coördinator for CO-ACT association*, blz. 55.

(2) De heer E. Halioua (Promethera Biosciences), blz. 52.

(3) De heer C. Homsy (Cardio3 Biosciences), blz. 53. Het risico op wijziging in het aandeelhouderschap zal waarschijnlijk leiden tot het verlies van de Belgische identiteit en van de vestiging in België.

(4) De heer S. Van der Spiegel, *op. cit.*, blz. 84.

dépend du volume de recettes que l'entreprise peut obtenir durant la période d'exclusivité fixée, pour les produits innovants, par la Commission européenne à dix ans. Et ces recettes varient en fonction des législations nationales qui portent sur la fixation du prix et du remboursement (1) et sur les critères d'efficacité et de sécurité. Ainsi la Commission de remboursement des médicaments rappelle que si des produits échouent en phase intermédiaire ou en phase finale III, dans deux cas sur trois, l'échec est dû à un manque d'efficacité et dans un cas sur cinq à des problèmes de sécurité (2).

3.3.3. Clarifier la structure du prix du médicament

La question de la fixation des prix par les entreprises reste un sujet épineux. Mme De Nys (CRM) estime que le prix est un peu comme un coffre verrouillé. La commission peut demander une réduction de prix et même refuser de rembourser un excellent produit parce qu'elle juge son prix excessif, mais elle ne peut jamais contraindre la firme à plus de transparence sur le mode de fixation du prix (3). On le voit, la question du prix reste au cœur de discussions alimentées par des enjeux de rentabilité d'une part, d'accessibilité d'autre part.

III. RECOMMANDATIONS

Considérant l'ensemble des auditions qui ont permis d'aborder les sujets du génome humain et des thérapies innovantes sous les angles de la recherche fondamentale, de la recherche appliquée, des législations belges et européennes, du secteur de la production (les sociétés pharmaceutiques), des structures fédérale et régionales de soutien à la recherche, des régulateurs financiers (INAMI et mutuelles), des associations de patients, et après avoir entendu l'avis de la ministre des affaires sociales et de la santé publique, le groupe de travail propose la recommandation suivante :

— Mettre sur pied un observatoire des thérapies avancées et du séquençage du génome humain, rassemblant les différents acteurs publics et privés, chargé d'échanger sur les avancées en matière scientifique et ses applications potentielles, sur les stratégies

(1) M. S. Van der Spiegel, *op. cit.*, p. 86.

(2) Mme K. De Nys, *op. cit.*, p. 98 : «Cinq critères de remboursement sont appliqués pour les médicaments innovants : la valeur thérapeutique, le prix par rapport à celui de médicaments alternatifs, la nécessité du positionnement dans la pratique médicale, l'incidence budgétaire et le rapport coût/efficacité.»

(3) Mme K. De Nys, *op. cit.*, p. 103, qui ajoute que la formule du contrat qui permet à la CRM de peser davantage sur la firme n'offre pas beaucoup plus de transparence.

rendabilité van een product is afhankelijk van de inkomsten die de onderneming kan verkrijgen in de exclusiviteitsperiode, die voor de innovatieve producten door de Europese Commissie op tien jaar is bepaald. De inkomsten zijn afhankelijk van de nationale wetgevingen inzake prijszetting en terugbetaling (1) en inzake doeltreffendheid en veiligheid. De Commissie tegemoetkoming geneesmiddelen herinnert er aldus aan dat wanneer producten bij submittie of in eindfase III falen, de mislukking in twee derde van de gevallen komt door een gebrek aan doeltreffendheid en in een vijfde van de gevallen door veiligheidsproblemen (2).

3.3.3. De prijsstructuur van het geneesmiddel verhelderen

Het probleem van de prijszetting door de ondernemingen blijft een netelig probleem. Mevrouw De Nys (CTG) vindt dat de prijs een beetje een gesloten doos is. De commissie kan een lagere prijs vragen en kan zelfs terugbetaling weigeren voor een uitstekend product omwille van een te hoge prijs, maar de commissie kan nooit meer transparantie afdwingen over de wijze van prijsbepaling (3). Men ziet dat het probleem van de prijs centraal blijft in het debat, dat blijft bestaan rond enerzijds het belang van de rendabiliteit en anderzijds dat van de toegankelijkheid.

III. AANBEVELINGEN

Gelet op alle hoorzittingen, waarop de thema's van het menselijk genoom en de innoverende therapieën konden worden benaderd vanuit de invalshoek van het fundamenteel onderzoek, het toegepast onderzoek, de Belgische en Europese wetgeving, de productiesector (de farmaceutische ondernemingen), de federale en gewestelijke structuren ter ondersteuning van het onderzoek, de financiële regulatoren (RIZIV en ziekenfondsen), de patiëntenverenigingen, en na het advies te hebben gehoord van de minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid, stelt de werkgroep de volgende aanbevelingen voor :

— Een observatorium voor geavanceerde therapieën en sequentiebepaling van het menselijk genoom oprichten. Daarin moeten de verschillende actoren uit de publieke en privésector worden samengebracht. Er dient informatie te worden uitgewisseld over de

(1) De heer S. Van der Spiegel, *op. cit.*, blz. 86.

(2) Mevrouw K. De Nys, *op. cit.*, blz. 98 : «Voor innovatieve geneesmiddelen worden vijf criteria voor terugbetaling gehanteerd. De vijf gebruikte criteria zijn : (relatieve) therapeutische waarde; prijs, vergeleken met alternatieven; noodzaak en plaats in de praktijk; budgetimpact en ten slotte kosten-effectiviteit.»

(3) Mevrouw K. De Nys, *op. cit.*, blz. 103, die eraan toevoegt dat de werkwijze met het contract waardoor de CTG meer druk op de firma kan uitoefenen, niet veel meer transparantie biedt.

politiques et économiques, et d'analyser le suivi des multiples défis, afin de servir d'aide à la décision politique.

L'innovation scientifique et médicale n'est pas une fin en soi. C'est le patient qui en constitue la seule raison d'être.

A. Discussion du texte proposé et des recommandations

Une membre trouve que la recommandation relative à la création d'un observatoire de thérapies innovantes évitera très concrètement que le rapport du groupe de travail ne reste lettre morte. Pour ce qui est d'éventuels ajouts supplémentaires au texte, l'intervenante aimerait disposer de plus de temps. Néanmoins, si un consensus sur le texte à l'examen se dégage, il sera possible de discuter ultérieurement d'éventuels ajouts en commission des Affaires sociales.

Une autre membre trouve également que la synthèse résume très bien les travaux. Elle se rallie à la proposition de la préopinante d'en débattre ultérieurement en commission des Affaires sociales, afin que des conclusions concrètes permettant de faire progresser les travaux puissent être formulées.

Une autre membre trouve le texte très clair et accessible, et trouve important qu'on accorde une place de choix au rôle des entreprises. En effet, la Belgique joue un rôle pionnier en la matière et les entreprises dans le secteur innovant méritent un soutien optimal. Le rôle de l'Europe est également important et la membre se réjouit que ce rôle soit mis en exergue dans le texte. En ce qui concerne le rôle des patients et la surveillance des droits du patient, il est effectivement essentiel de conserver un bon équilibre.

Une autre membre n'a pas d'observations fondamentales à formuler concernant le texte à l'examen, qui énumère clairement les défis. Bien que l'intervenante ne soit pas favorable à l'élaboration d'une liste interminable de recommandations, elle estime qu'il est un peu sommaire de se contenter de la seule recommandation relative à la création d'un observatoire. Quelle sera la mission de cet observatoire? La membre peut par exemple se rallier à l'intention d'élaborer un plan national pour les maladies rares. Si cela fait partie des tâches de l'observatoire, c'est d'autant mieux. Si ce n'est pas le cas, cela devrait faire l'objet d'une recommandation distincte. Il en va de même pour l'élaboration d'un plan relatif à l'implication des associations de patients dans les procédures d'évaluation des commissions sur les médicaments et dans l'ensemble des défis éthiques. De manière générale, la sénatrice trouve qu'il serait opportun de définir quelles seront précisément les tâches de l'observatoire.

wetenschappelijke doorbraken en de mogelijke toepassingen hiervan en over de politieke en economische strategieën. Deze aanbevelingen horen een *follow-up* te krijgen, waarmee ondersteuning kan worden geboden aan de politieke beleidsmakers.

Wetenschappelijke en medische vooruitgang is geen doel op zich. Het draait allemaal om de patiënt.

A. Bespreking van het voorstel van tekst en aanbevelingen

Een lid vindt de aanbeveling over de oprichting van een observatorium innoverende therapieën heel concreet wat zal vermijden dat het verslag van de werkgroep dode letter blijft. Wat betreft eventuele verdere aanvullingen aan de tekst zou spreekster graag over meer tijd beschikken. Indien er echter een consensus is over de voorliggende tekst is het mogelijk om in een later stadium, in de commissie Sociale Zaken, over eventuele aanvullingen te praten.

Ook een ander lid vindt de synthese een zeer goede samenvatting van de werkzaamheden. Zij sluit zich aan bij het voorstel van het vorige lid om er nog verder over te debatteren in de commissie Sociale Aangelegenheden, zodat er concrete conclusies kunnen komen waarmee verder kan gewerkt worden.

Een volgend lid vindt de tekst zeer bevattelijk en toegankelijk. Zij vindt het belangrijk dat de rol van de bedrijven een prominente plaats krijgt. België heeft immers een voortrekkersrol op dit vlak en de bedrijven in de innoverende sector verdienen optimale steun. Ook de rol van Europa is een goede aanvulling en het lid is blij dat deze rol in de tekst wordt onderstreept. Wat betreft de rol van de patiënten en de bewaking van de patiëntenrechten is het inderdaad essentieel een goed evenwicht te bewaren.

Een ander lid heeft geen fundamentele opmerkingen over de voorliggende tekst, die de uitdagingen duidelijk oplijst. Alhoewel ze zeker geen voorstandster is van een ellenlange lijst aanbevelingen, voelt spreekster zich toch wat beknopt door de enkele aanbeveling tot oprichting van een observatorium. Wat zal de opdracht zijn van dit observatorium? Het lid kan zich bijvoorbeeld aansluiten bij de intentie om een Nationaal plan zeldzame ziekten te maken. Als dit tot de taken van het observatorium behoort, des te beter. Is dat niet het geval, dan zou dit het voorwerp moeten uitmaken van een aparte aanbeveling. Hetzelfde geldt voor een plan over het betrekken van de patiëntenverenigingen bij de evaluatieprocedures van de geneesmiddelencommissies en het geheel van de ethische uitdagingen. Algemeen meent de senator dat het goed zou zijn verder te bepalen wat precies de taken worden van het observatorium.

Concernant le rôle de l'observatoire proposé, un autre membre trouve que l'atout d'un tel observatoire est précisément de pouvoir servir en quelque sorte de centre d'expertise, où l'on peut examiner à haut niveau les nouveautés, la manière dont elles peuvent être exploitées, les points forts de la Belgique, la question de savoir qui fait quoi en Europe, etc. Selon l'intervenante, ce n'est pas quelque chose qui peut être fait ici concrètement au sein du groupe de travail, mais cela offre la possibilité d'aborder ouvertement le sujet.

Une membre demande si l'objectif est de faire de l'observatoire proposé un deuxième centre d'expertise. Dans ce cas, pourra-t-on effectuer une bonne démarcation entre les deux ? C'est aussi une des raisons pour lesquelles il convient de préciser la mission de l'observatoire, qui rendra des avis, tout comme le KCE.

Un autre membre estime que la différence entre un observatoire tel que celui qui est proposé en l'occurrence et le KCE réside dans le fait que le KCE commande des études. Pour la réalisation de ces études, il développe des liens de coopération avec des universités et remet — à la ministre principalement — des avis sur la base des études réalisées en ce qui concerne la pertinence de tel ou tel produit ou méthode de traitement. Il se concentre donc essentiellement sur les thérapies.

L'observatoire proposé rassemblera des scientifiques, des entrepreneurs, des investisseurs et des associations de patients qui pourront élaborer un avis en réponse à des questions qui pourraient être posées par la ministre. Il s'agit donc d'une action beaucoup plus vaste que celle du KCE et, en même temps, plus ciblée : plus vaste parce que les experts couvrent un éventail beaucoup plus large de la société et plus ciblée parce que le cadre d'action de l'observatoire se limite aux thérapies innovantes. Une réflexion doit naturellement encore être menée en ce qui concerne, entre autres, le statut et la méthode de travail. L'objectif n'est cependant pas de créer un centre d'expertise sur les thérapies innovantes.

Au cours de l'année écoulée, il est apparu clairement que nous sommes confrontés à un monde qui affiche une croissance et une évolution étonnante, pour lesquelles il n'existe aucun critère pouvant servir de ligne directrice. Un observatoire pourrait être un organe de discussion pouvant éclairer le monde politique sur la manière dont le monde évolue. Pourquoi ne pourrait-on pas également collaborer avec le KCE sur certains aspects ?

Un membre estime que des recommandations pourraient être formulées à l'attention du KCE. On peut, par exemple, fixer l'attention du KCE sur une évolution spécifique dans les thérapies innovantes, en lui demandant quelle solution il préconiserait. Si

Inzake de rol van het voorgestelde observatorium meent een ander lid dat de troef van dergelijk observatorium precies is dat het kan dienen als een soort van kenniscentrum, waar op een hoog niveau wordt onderzocht wat nieuw is, hoe het kan ingezet worden, waar België sterk in is, wie wat doet in Europa, enz. Dit is volgens spreekster niet iets dat hier in de werkgroep concreet kan ingevuld worden, maar dat biedt net de mogelijkheid om het open te benaderen.

Een lid vraagt of het de bedoeling is van het voorgestelde observatorium een tweede Kenniscentrum te maken ? Zal er in dat geval wel een goede aflijning mogelijk zijn tussen beiden ? Ook dit is een reden om de missie van het observatorium te verduidelijken, dat adviezen zal verstrekken net zoals het KCE.

Een ander lid meent dat het verschil tussen een observatorium zoals hier wordt voorgesteld en het KCE erin bestaat dat het KCE studies bestelt. Het ontwikkelt voor deze studies samenwerkingsverbanden met universiteiten en geeft op basis van de studies adviezen, in hoofdzaak aan de minister, over de pertinentie van deze of gene behandelingsmethode of product. Het richt zich dus voornamelijk op therapieën.

Het voorgestelde observatorium zou wetenschappers, ondernemers, investeerders en patiëntenverenigingen samenbrengen, die een advies zouden kunnen ontwikkelen als antwoord op vragen die door de minister zouden kunnen gesteld worden. Dit is dus enerzijds veel breder dan wat het KCE doet en tegelijk meer gericht : breder omdat de experten een veel breder spectrum van de maatschappij vertegenwoordigen, en gericht doordat het zich beperkt tot het kader van de innoverende therapieën. Uiteraard is er nog reflectie nodig over onder andere het statuut en de werkwijze. Het is echter niet de bedoeling een Kenniscentrum over innoverende therapieën op te richten.

In het afgelopen jaar is duidelijk geworden dat we geconfronteerd worden met een wereld die een verbazende groei en ontwikkeling kent en waarvoor geen maatstaven bestaan die als richtsnoer kunnen gehanteerd worden. Een observatorium zou een discussieorgaan kunnen zijn dat de politieke wereld kan verduidelijken hoe deze wereld evolueert en wijzigt. Waarom zou het voor bepaalde aspecten ook niet kunnen samenwerken met het KCE ?

Een lid meent dat er inderdaad aanbevelingen zouden kunnen worden geformuleerd ter attentie van het KCE. De aandacht van het KCE kan bijvoorbeeld gevestigd worden op een specifieke ontwikkeling in de innoverende therapieën met de vraag welke oplos-

L'on estime par exemple qu'une évolution observée dans les thérapies innovantes justifie que l'on recoure davantage à un PET scan, le KCE peut calculer le nombre de machines nécessaires. L'observatoire ne s'occupera pas du calcul du nombre de PET scans ou d'autres machines nécessaires; c'est le rôle du KCE. L'observatoire pourra cependant formuler des recommandations à l'égard du KCE sur la base des progrès réalisés dans la recherche scientifique. À un moment donné, l'attention du KCE peut même être attirée sur la nécessité de se pencher sur les perspectives thérapeutiques qui ne sont jusqu'à présent pas prises en considération. Pour le sénateur, l'observatoire et le KCE ne posent aucun problème de double emploi. Il entrevoit, au contraire, de nouvelles possibilités.

Une autre membre demande si la nouvelle structure n'aura pas pour mission première d'élaborer un plan national des thérapies innovantes. Ce n'est pas simple, car cette matière relève de la compétence tant des communautés que de l'autorité fédérale et différentes approches sont possibles. On peut ainsi mettre l'accent sur l'aspect santé publique, mais aussi sur l'aspect recherche: dans ce dernier cas, il convient de tenir compte du fait que cette compétence ne relève pas de l'autorité fédérale. Comment l'observatoire résoudra-t-il ce problème?

Un membre considère qu'il est clair que l'observatoire devra être un lieu de rencontre. Au niveau politique, il rassemblera à la fois des représentants fédéraux et des représentants des entités fédérées.

Au sujet de l'observatoire à proprement parler, l'intervenant souhaite nuancer la recommandation en parlant d'une «structure (plateforme/observatoire)». En effet, les uns sont plus favorables à la création d'un observatoire, les autres à celle d'une plateforme. Un observatoire est une vaste structure, qui demande des efforts financiers importants. Une plateforme est moins étendue et donc moins onéreuse. Cette question peut encore faire l'objet d'un débat. Concrètement, le membre propose de remplacer, dans la recommandation, le mot «observatoire» par les mots «structure (plateforme/observatoire)». La commission des Affaires sociales peut débattre plus longuement, à un stade ultérieur, la question de la structure la plus adaptée.

Les membres souscrivent à cette modification.

Un membre s'interroge quant à la possibilité de formuler une recommandation visant à encourager la recherche, par exemple en exonérant fiscalement les dons au profit de la recherche médicale. D'aucuns diront bien sûr que les recettes s'en trouveront diminuées, mais il faut aussi y voir une manière

sing het KCE ziet. Als er bijvoorbeeld geoordeeld wordt dat er meer gebruik gemaakt moet worden van een PET-scan door een evolutie in de innoverende therapieën, dan kan het KCE een berekening maken van het aantal benodigde machines. Het observatorium gaat zich niet bezighouden met de berekening over het benodigde aantal PET-scans of andere machines, dat is de taak van het KCE. Maar er zouden wel aanbevelingen van het observatorium naar het KCE kunnen gaan op basis van de vooruitgang van het wetenschappelijk onderzoek. Op een bepaald ogenblik kan zelfs de aandacht van het KCE gevestigd worden op de noodzaak om zich te buigen over therapeutische perspectieven die tot nu toe niet in overweging genomen worden. Volgens de senator stelt er zich dus geen probleem van dubbel gebruik tussen het observatorium en het KCE. Hij ziet integendeel nieuwe mogelijkheden ontstaan.

Een ander lid vraagt of de nieuwe structuur niet als eerste taak een nationaal plan innoverende therapieën zal moeten opstellen. Het is niet eenvoudig omdat de bevoegdheid over de materie zich zowel bij de gemeenschappen als bij de federale overheid bevindt en er verschillende insteken mogelijk zijn. Zo kan de nadruk gelegd worden op het aspect volksgezondheid, maar evengoed op het aspect onderzoek, waarbij rekening gehouden moet worden met het feit dat dit laatste geen federale bevoegdheid is. Hoe zal het observatorium dit oplossen?

Een lid meent dat het duidelijk is dat het observatorium een ontmoetingsplaats zal moeten zijn. Op politiek niveau zullen zowel de federale vertegenwoordigers als de vertegenwoordigers van de deelstaten aanwezig zijn.

Wat betreft het observatorium zelf wenst spreker een nuancering aan te brengen in de aanbeveling door te verwijzen naar een «structuur (platform/observatorium)». Sommigen geven immers de voorkeur aan de oprichting van een observatorium, anderen dan weer aan een platform. Een observatorium is een uitgebreide structuur waarvoor een belangrijke financiële inspanning nodig is. Een platform is minder uitgebreid en dus ook minder kostelijk. Hierover kan nog gedebatteerd worden. Concreet stelt het lid voor het woord «observatorium» in de aanbeveling te vervangen door de woorden «structuur (platform/observatorium)». De commissie Sociale Aangelegenheden kan in een volgend stadium verder debatteren over de meest geschikte structuur.

De leden zijn het eens met deze wijziging.

Een lid vraagt of het niet mogelijk zou zijn een aanbeveling te formuleren over het geven van een impuls aan het onderzoek, bijvoorbeeld door giften ten gunste van het medisch onderzoek vrij te stellen van belasting. Sommigen zullen ongetwijfeld stellen dat daardoor de ontvangsten afnemen, maar anderzijds is

d'encourager un secteur qui contribue à stimuler l'économie et à créer de nouveaux emplois. Selon l'intervenant, une telle exonération d'impôt aurait plutôt des effets positifs. Dans d'autres pays, les dons des personnes généreuses qui souhaitent soutenir de leur vivant la recherche médicale sont déjà défiscalisés. Cela ne signifie pas pour autant que les pouvoirs publics doivent cesser de soutenir la recherche. Il s'agit davantage d'envoyer un signal, pour montrer qu'à côté de l'aide apportée par les pouvoirs publics, il faut trouver d'autres moyens pour soutenir la recherche.

Les autres observations du sénateur portent sur les aspects éthiques. On peut trouver beaucoup d'informations ambiguës sur Internet. Ces informations ne font l'objet d'aucun contrôle et leurs auteurs ne sont pas passibles de sanctions. On abuse toutefois grossièrement du malheur des gens; on exploite les drames privés de personnes malades ou handicapées en leur faisant croire à la possibilité d'un traitement, voire d'une guérison, grâce à l'utilisation des cellules souches, par exemple. Il est pourtant de notoriété publique que de telles thérapies ne sont pas encore au point. Ne peut-on pas insister, dans les recommandations, sur la nécessité d'être vigilant? Difficile évidemment de dire comment agir ou réagir, mais il est tout de même utile d'insister sur le fait qu'en Belgique, on ne peut pas affirmer n'importe quoi dans ce domaine et qu'il est absolument inadmissible de mettre le malheur des autres à profit.

Il y a aussi la question du patrimoine génétique. L'intervenant est lui-même un grand partisan de la prévention lorsque celle-ci permet d'éviter un traitement. Il ne faut pas perdre de vue non plus l'économie que représente la prévention. Il est possible, en examinant le patrimoine génétique, de poser un diagnostic préventif et, en sélectionnant uniquement les embryons sains, d'éviter, par exemple, la transmission d'une maladie héréditaire grave à un enfant. Cependant, il faut absolument fixer les conditions à remplir obligatoirement et définir jusqu'où on peut aller pour éviter d'ouvrir la porte, par exemple, aux pratiques eugéniques. Une recommandation doit donc certainement s'accompagner de précisions quant aux maladies ou groupes de maladies qui peuvent être dépistés par un diagnostic préventif.

Une membre souhaite se rallier aux réserves formulées par l'intervenant précédent au sujet des aspects éthiques. Elle s'interroge sérieusement sur le passeport génétique et se demande si on ne risque pas d'évoluer vers une société dans laquelle ne pourraient survivre que les personnes au patrimoine génétique le plus fort. C'est évidemment un tout autre débat. L'intervenante soutient aussi la proposition d'exonération fiscale formulée par le membre précédent. Celle-ci peut certainement être ajoutée au texte final.

dit een manier om een sector te stimuleren die een bron is van economische stimulans en zorgt voor de creatie van nieuwe jobs. Volgens spreker zou dergelijke vrijstelling van belasting dus eerder zorgen voor positieve vooruitzichten. In andere landen is de vrijgevigheid van personen die bij leven het medisch onderzoek wensen te steunen reeds gedefiscaliseerd. Dit wil echter niet zeggen dat de overheid zijn steun aan het onderzoek moet afbouwen. Het is meer een signaal dat er, naast de steun van de overheid, nog bijkomende middelen moeten worden gezocht om het onderzoek te ondersteunen.

De andere opmerkingen van de senator betreffen ethische aspecten. Zo is er op het internet veel halfslachtige informatie te vinden. Deze informatie moet niet worden goedgekeurd en is niet aan sancties onderworpen. Er wordt echter grove misbruik gemaakt van het ongeluk van mensen, waarbij de persoonlijke drama's van zieken en gehandicapten uitgebuit worden door hen te doen geloven dat er behandeling of zelfs genezing mogelijk is door het gebruik van bijvoorbeeld stamcellen. Het is nochtans algemeen geweten dat dergelijke therapieën nog niet op punt staan. Kan er in de aanbevelingen niet benadrukt worden dat waakzaamheid nodig is? Het is natuurlijk niet eenvoudig om te zeggen hoe er moet opgetreden of gereageerd moet worden, maar toch is het nuttig te benadrukken dat in België op dit gebied niet eender wat kan worden beweerd en dat het absoluut onaanvaardbaar is te profiteren van het ongeluk van anderen.

Er is ook de vraag betreffende het genetisch patrimonium. Spreker is zelf een groot voorstander van preventie als zo behandeling kan voorkomen worden. Ook het kostenbesparende aspect van preventie mag zeker niet uit het oog verloren worden. Dankzij het genetisch patrimonium kan een preventieve diagnose gesteld worden en door enkel gezonde embryo's te selecteren kan bijvoorbeeld voorkomen worden dat een zware erfelijke ziekte aan een kind doorgegeven wordt. Er moet echter absoluut vastgelegd worden onder welke voorwaarden dit mag gebeuren en hoe ver dit mag gaan om te vermijden dat de deur open zou staan voor bijvoorbeeld eugenetische aspecten. Een aanbeveling moet dus zeker gepaard gaan met preciseringen over de ziekten of groepen van ziekten die door middel van een preventieve diagnose mogen worden vastgesteld.

Een lid wenst zich aan te sluiten bij de reserves die vorige spreker formuleerde inzake de ethische aspecten. Zij plaatst grote vraagtekens bij het genetische paspoort en vraagt zich af of dit niet kan leiden tot een evolutie naar een maatschappij waarin de genetisch sterksten mogen overleven. Dit is natuurlijk een heel ander debat. Spreekster steunt voorts het voorstel tot vrijstelling van belasting dat het vorige lid formuleerde. Dit mag zeker toegevoegd worden aan de eindtekst.

Selon une autre membre, il est nécessaire d'ouvrir un débat sur la Belgique post-industrielle, dans laquelle beaucoup d'entreprises indiquent qu'elles ont atteint leurs limites. L'emploi de demain peut cependant aussi trouver sa source dans des entreprises innovantes. L'aspect fiscal mérite certainement une réflexion mais il est aussi possible d'encourager ce type de recherche par le biais d'autres compétences fédérales. Cette question dépasse en effet le seul aspect santé.

Selon un autre intervenant, il est clair qu'il faut formuler des priorités en matière de financement, d'aide à la recherche et d'emploi. Une deuxième priorité concerne tout ce qui a trait à l'aspect éthique. Il est possible d'intégrer ces priorités dans la mission de l'observatoire, en mentionnant, par exemple, que celui-ci a pour mission prioritaire de prendre en considération les défis relatifs au financement, les questions éthiques et l'implication des patients. Le membre propose d'adapter le texte de la recommandation comme suit :

«Mettre sur pied un observatoire des thérapies avancées et du séquençage du génome humain, rassemblant les différents acteurs publics et privés, chargé d'échanger sur les avancées en matière scientifique et ses applications potentielles, sur les stratégies politiques et économiques, et d'analyser le suivi des multiples défis, afin de servir d'aide à la décision politique. Cet observatoire, en suscitant la collaboration d'organismes et d'institutions reconnues (par exemple le KCE, le CSS, ...), structurera son travail autour de quatre axes principaux :

- le financement de la recherche en soutenant, par exemple, les possibilités de défiscalisation des dons;
- l'implication des patients via, par exemple, la définition d'un plan national;
- les défis éthiques en établissant une cartographie de ces défis;
- l'efficacité, l'efficience et l'accessibilité des thérapies avancées par le maintien des mécanismes de solidarité.»

Une membre constate que la recherche occupe la première place parmi les quatre axes proposés. La recherche est toutefois une compétence communautaire et même s'il s'agit essentiellement du système du *tax-shelter*, le centre de gravité ne se situe pas, en l'occurrence, au niveau de l'autorité fédérale. Il lui semble donc assez maladroit de faire de la recherche le premier axe.

Een ander lid vindt een debat nodig over post-industrieel België waarin veel bedrijven aantonen dat zij hun grenzen hebben bereikt. De tewerkstelling van morgen kan echter ook gebaseerd zijn op innovatieve bedrijven. Het fiscale aspect is dus zeker een reflectie waard maar ook andere federale bevoegdheden kunnen worden overwogen om dergelijk onderzoek aan te moedigen. Dit reikt immers verder dan enkel het gezondheidsaspect.

Het is volgens een volgende spreker duidelijk dat er een behoefte is om prioriteiten te formuleren inzake de financiering, ondersteuning van het onderzoek en van de werkgelegenheid. Een tweede prioriteit betreft alles wat met het ethische aspect te maken heeft. Dit kan in de missie van het observatorium verwerkt worden, door bijvoorbeeld te vermelden dat het als prioritaire missie heeft het in overweging nemen van de uitdagingen over financiering, de ethische vraagstukken en de betrokkenheid van de patiënten. Het lid stelt voor de tekst van de aanbeveling als volgt aan te passen :

«Een observatorium voor geavanceerde therapieën en sequentiebepaling van het menselijk genoom oprichten. Daarin moeten de verschillende actoren uit de publieke en privésector worden samengebracht. Er dient informatie te worden uitgewisseld over de wetenschappelijke doorbraken en de mogelijke toepassingen hiervan en over de politieke en economische strategieën. Deze aanbevelingen horen een *follow-up* te krijgen, waarmee ondersteuning kan worden geboden aan de politieke beleidsmakers. Dat observatorium zal de samenwerking tot stand brengen tussen erkende instellingen (bijvoorbeeld het KCE, de HGR, ...) en zal zijn werk rond pijlers structureren :

- de financiering van het onderzoek, met bijvoorbeeld het ondersteunen van de mogelijkheden van belastingvrijstelling voor giften;
- de betrokkenheid van de patiënten, bijvoorbeeld via het vastleggen van een nationaal plan;
- de ethische uitdagingen, door die uitdagingen in kaart te brengen;
- de efficiëntie, de doelmatigheid en de toegankelijkheid van de vooruitstrevende therapieën door het behoud van de solidariteitsmechanismen.»

Een lid stelt vast dat het onderzoek bovenaan staat bij de voorgestelde vier pijlers. Onderzoek is echter een bevoegdheid van de gemeenschappen en zelfs al gaat het hier in essentie over het systeem van de *tax-shelter*, toch ligt het zwaartepunt in deze niet bij de federale overheid. Het lijkt spreekster daarom wat onhandig dit punt als eerste pijler te plaatsen.

Un autre membre confirme que la recherche est une matière qui relève de la compétence des entités fédérées. Cependant, le niveau fédéral dispose bel et bien de possibilités pour soutenir la recherche, comme la piste consistant à défiscaliser les dons. Il est également possible de réduire par exemple les charges sociales pour les entreprises qui engagent des chercheurs, comme cela s'est déjà fait par le passé. Il est essentiel que les acteurs des différents niveaux aient la possibilité de se rencontrer et que chacun à son niveau prenne les décisions nécessaires et possibles. L'intervenant estime donc qu'il est nécessaire de maintenir l'axe du financement de la recherche dans le texte à l'examen.

Une membre s'interroge également en ce qui concerne l'implication des patients, qui, d'après la proposition de texte, sera réalisée notamment à travers l'élaboration d'un plan national. Mais de quoi au juste le plan national va-t-il traiter? Des thérapies innovantes? Selon l'intervenante, l'implication des patients est peut-être déjà une réalité dans les thérapies innovantes, mais elle considère que la phrase proposée manque de précision. Les travaux du groupe de travail ont révélé que le patient doit être impliqué dans l'évolution de la méthode thérapeutique. La phrase proposée est-elle suffisamment explicite?

Un autre intervenant pensait qu'il existait une volonté de reconnaître le rôle majeur des patients dans la mise au point de thérapies innovantes, à travers un axe spécifique, de manière à ce que les patients et leurs associations soient de plus en plus considérés et reconnus comme des acteurs à part entière. Le professeur Cassiman a plaidé dans ce sens lors de la toute première audition et il a été rejoint, par la suite, par toutes les associations de patients qui ont pris la parole.

Le membre propose de ne renvoyer qu'à « l'implication des patients » dans le texte de la recommandation, sans mentionner un plan national. La structure à créer pourra se pencher ultérieurement sur la meilleure manière d'impliquer les patients. La recommandation relative aux patients pourrait être rédigée comme suit :

« l'implication des patients; »

Les membres du groupe de travail marquent leur accord sur cette suggestion.

Concernant les maladies rares, le membre signale qu'il existe déjà une obligation européenne d'élaborer un plan national, qui doit être prêt en 2013.

Une autre membre considère que rien ne garantit que le plan national pour les maladies rares sera élaboré cette année-ci. Le plan national peut donc être intégré au programme du groupe de travail. Selon l'intervenante, il va de soi qu'il est important et urgent de disposer de ce plan, qui pourrait donc effectivement faire l'objet d'une recommandation. S'il est vrai qu'il y

Een ander lid bevestigt dat onderzoek als materie onder de bevoegdheid van de deelstaten valt. Er zijn echter wel degelijk federale mogelijkheden om het onderzoek te steunen, zoals de piste om giften vrij te stellen van belasting. Het is bijvoorbeeld ook mogelijk, zoals in het verleden al is gebeurd, de sociale lasten te verminderen voor bedrijven die onderzoekers aanwerven. Het is zeer belangrijk dat de actoren van de verschillende niveaus de mogelijkheid hebben mekaar te ontmoeten en dat ieder op zijn niveau de nodige en mogelijke beslissingen neemt. Daarom is het voor spreker nodig de pijler van de financiering van het onderzoek in de voorliggende tekst te behouden.

Ook inzake de formulering van de betrokkenheid van de patiënten stelt een lid zich vragen. Volgens het tekstvoorstel gebeurt dit door, bijvoorbeeld, een nationaal plan op te stellen. Maar een nationaal plan waarover precies? Over innoverende therapieën? Volgens spreekster is het betrekken van patiënten misschien al realiteit bij de innoverende therapieën, maar zij vindt de voorgelegde zin niet erg precies. Uit de werkzaamheden is gebleken dat de patiënt moet betrokken worden bij de evolutie van de therapeutische werkwijze. Is de voorgestelde zin wel expliciet genoeg?

Een andere spreker meende dat de wil bestond om de belangrijke rol van de patiënten te erkennen bij de ontwikkeling van innoverende therapieën, doorheen een aandachtspijler zodat de patiëntenverenigingen en de patiënten meer en meer beschouwd en erkend zouden worden als volwaardige actoren. Dit was ook het pleidooi dat in de allereerste hoorzitting door professor Cassiman werd gehouden en dat vervolgens werd gevolgd door alle patiëntenverenigingen die aan bod zijn gekomen.

Het lid stelt voor in de tekst van de aanbeveling enkel en alleen te verwijzen naar « het betrekken van patiënten », zonder het te hebben over een nationaal plan. De op te richten structuur kan zich later buigen over de beste wijze om de patiënten te betrekken. De aanbeveling inzake patiënten zou dan als volgt luiden :

« het betrekken van patiënten; »

De leden van de werkgroep stemmen hiermee in.

Inzake zeldzame ziekten merkt het lid op dat er al een Europese verplichting bestaat tot opstelling van een nationaal plan. Dit moet in 2013 klaar zijn.

Een ander lid meent dat er geen enkele garantie werd gegeven dat het nationaal plan inzake zeldzame ziekten dit jaar zou tot stand komen. Dit kan dus deel uitmaken van het werk van de werkgroep. Volgens spreekster is het duidelijk dat het belangrijk en dringend is om dit plan te hebben. Dit zou dus wel degelijk deel kunnen uitmaken van een aanbeveling.

a une directive européenne, la première moitié de 2013 est déjà passée entre-temps. La ministre va-t-elle concrétiser le plan national ou non? La membre demande si l'observatoire ne peut pas être chargé d'une manière ou d'une autre de l'élaboration de ce plan. Pourquoi l'observatoire ne pourrait-il pas avoir pour mission de formuler des avis concernant le plan national pour les maladies rares, étant donné qu'il rassemblera tous les acteurs?

Une autre membre indique que le plan national doit être prêt pour 2013. Elle estime toutefois que la recommandation du groupe de travail ne doit pas se limiter au plan national. La création d'un observatoire permettrait d'obtenir une vue d'ensemble, plus vaste qu'un plan national pour les maladies rares. Il serait dommage de la limiter au plan national.

Un intervenant suivant distingue deux points. Premièrement, il faut que le plan national pour les maladies rares soit finalisé. Ensuite, celui-ci doit être adapté en fonction des priorités qui se présentent annuellement ou en fonction de certaines évolutions de la recherche scientifique. Si l'on se concentre uniquement sur la problématique des maladies rares, aucun progrès ne pourra être réalisé pour toute une série d'autres pathologies qui ont également été abordées dans le groupe de travail. Il ne s'agit pas de maladies rares mais elles méritent tout autant que l'on s'y intéresse.

Le membre propose d'exprimer les préoccupations que suscite le plan national pour les maladies rares en insérant le texte suivant dans les considérants des recommandations :

« Considérant également l'obligation pour la Belgique de se doter d'un plan national des maladies rares, conformément aux dispositions européennes; »

Les membres du groupe de travail marquent leur accord sur cette suggestion.

Un membre souhaite une implication accrue et plus directe du KCE au moyen d'un « *horizon scanning* », ce qui permettra de faire le point sur un sujet bien précis. Le but est dès lors de demander au KCE d'appliquer un « *horizon scanning* » aux thérapies innovantes.

Le membre propose de compléter les recommandations par le point suivant :

« De demander au KCE d'initier sans tarder un « *horizon scanning* » sur les thérapies innovantes. »

Les membres du groupe de travail marquent leur accord sur cet ajout.

La deuxième proposition formulée par la membre concerne le fait que la notion d'« innovation » est très

Er is misschien wel een Europese richtlijn, maar ondertussen is 2013 al halfweg. Komt de minister met het nationaal plan of niet? Het lid vraagt of het observatorium niet op één of andere manier belast kan worden met het opstellen van dit plan. Waarom zou het geen missie van het observatorium kunnen zijn om advies te geven inzake het nationaal plan zeldzame ziekten? In het observatorium zullen immers alle actoren bijeengebracht worden.

Een volgend lid wijst erop dat het nationaal plan voor 2013 klaar moet zijn. Zij vindt echter dat de aanbeveling van de werkgroep ruimer moet zijn dan enkel het punt van het nationaal plan. De oprichting van een observatorium zou de mogelijkheid geven tot een totaaloverzicht te komen, dat ruimer gaat dan een nationaal plan over zeldzame ziekten. Het zou jammer zijn het te beperken tot het nationaal plan.

Een volgende spreker onderscheidt twee zaken. Eerst is er het feit dat het nationaal plan zeldzame ziekten moet worden afgewerkt. Dan moet het nationaal plan aangepast worden in functie van de prioriteiten die zich jaarlijks stellen of die zich stellen in functie van bepaalde evoluties van het wetenschappelijk onderzoek. Door zich enkel te concentreren op de problematiek van de zeldzame ziekten, betekent dit dat er geen vooruitgang kan gemaakt worden op een hele reeks andere pathologieën die ook aan bod kwamen in deze werkgroep. Het zijn geen zeldzame ziekten, maar ze zijn zeker even belangrijk.

Het lid stelt voor de bekommernis inzake het nationaal plan zeldzame ziekten te verwoorden door volgende tekst in te voegen in de overwegingen van de aanbevelingen :

« Gelet ook op de verplichting voor België om, overeenkomstig de Europese bepalingen, een nationaal plan op te maken inzake de zeldzame ziekten; »

De leden van de werkgroep gaan hiermee akkoord.

Een lid wenst een grotere en meer rechtstreekse betrokkenheid van het KCE door middel van een « *horizon scanning* », wat de mogelijkheid biedt de stand van zaken op te maken over een welbepaald onderwerp. Het is daarom de bedoeling om het KCE te vragen dit te doen inzake de innoverende therapieën.

Het lid stelt voor de aanbevelingen aan te vullen met volgend punt :

« Het KCE te verzoeken onverwijld te beginnen met een « *horizon scanning* » rond de innoverende therapieën. »

De leden van de werkgroep stemmen hiermee in.

Het tweede voorstel van het lid betreft het feit dat « innovatie » een heel breed begrip is. Daarom stelt zij

large. Aussi propose-t-elle d'ajouter un considérant définissant ce qu'il convient d'entendre exactement par « thérapies innovantes », c'est-à-dire qu'il doit s'agir de thérapies qui ont une réelle plus-value thérapeutique. Ce considérant pourrait être rédigé comme suit :

« Considérant qu'il convient de comprendre l'expression « thérapies innovantes » comme celle qui rassemble les thérapies apportant une réelle plus-value thérapeutique; »

Les membres du groupe de travail marquent leur accord sur cette précision.

Un autre membre propose d'ajouter quelques considérants qui mettent davantage l'accent sur les motifs qui ont conduit à la formulation des recommandations. Pour les membres du groupe de travail, qui s'occupent de cette matière depuis un an déjà, cela paraît en effet évident, mais ce n'est pas le cas pour les personnes extérieures. Il propose dès lors de renvoyer au Plan national des maladies rares, aux institutions publiques qui font de la recherche sur des problèmes de santé publique, au dynamisme des acteurs et à la nécessité de comprendre les enjeux et de les anticiper. Ces considérants sont formulés comme suit :

« Considérant que la médecine de demain évolue vers de nouvelles formes de traitement et de prise en charge du patient;

Considérant que cette évolution médicale est apparue de manière évidente à travers l'ensemble des auditions qui ont permis d'aborder les sujets du génome humain et des thérapies innovantes sous les angles de la recherche fondamentale, de la recherche appliquée, des législations belges et européennes, du secteur de la production (les sociétés pharmaceutiques), des structures fédérale et régionales de soutien à la recherche, des régulateurs financiers (INAMI et mutuelles), des associations de patients, et après avoir entendu l'avis de la ministre des affaires sociales et de la santé publique;

Considérant l'existence d'institutions publiques (KCE, ISP, CSS, ...) chargées de mener des recherches et de remettre des avis sur des questions de santé publique;

Considérant le dynamisme des acteurs, tant privés que publics, de la recherche médicale et de l'émergence de plus en plus significative des associations de patients;

Considérant la nécessité de comprendre et d'anticiper les enjeux, d'entendre et de rassembler les avis des multiples acteurs, et de formuler des avis et des recommandations au gouvernement;

Considérant qu'il convient de comprendre l'expression « thérapies innovantes » comme celle qui rassem-

pour een overweging toe te voegen die omschrijft wat er onder « innoverende therapieën » precies verstaan wordt, namelijk dat het moet gaan om therapieën die een reële therapeutische meerwaarde hebben. Deze overweging zou luiden als volgt :

« Overwegende dat het begrip « innoverende therapieën » begrepen moet worden als het begrip dat de therapieën omvat die een reële therapeutische meerwaarde hebben; »

De leden van de werkgroep zijn het eens met deze verduidelijking.

Een ander lid stelt voor enkele overwegingen toe te voegen die meer nadruk leggen op de motieven die ertoe geleid hebben dat er aanbevelingen geformuleerd worden. Voor de leden van de werkgroep, die al een jaar met deze materie bezig zijn, lijkt dit immers evident, maar voor buitenstaanders is dat niet het geval. Daarom stelt hij voor te verwijzen naar het nationaal plan zeldzame ziekten, de overheidsinstellingen die onderzoek verrichten naar problemen inzake volksgezondheid, de dynamiek van de actoren en de noodzaak om uitdagingen te begrijpen en hierop te anticiperen. Deze overwegingen luiden als volgt :

« Overwegende dat de geneeskunde van morgen evolueert naar nieuwe vormen van behandeling van en zorg voor de patiënt;

Overwegende dat die geneeskundige ontwikkeling duidelijk is gebleken in alle hoorzittingen, waarop de thema's van het menselijk genoom en de innoverende therapieën konden worden benaderd vanuit de invalshoek van het fundamenteel onderzoek, het toegepast onderzoek, de Belgische en Europese wetgeving, de productiesector (de farmaceutische ondernemingen), de federale en gewestelijke structuren, de financiële regulatoren (RIZIV en ziekenfondsen), de patiëntenverenigingen, en na het advies te hebben gehoord van de minister van Sociale Zaken en Volksgezondheid;

Gelet op de overheidsinstellingen (KCE, HGR, WIV, ...) die onderzoek verrichten en adviezen uitbrengen over problemen inzake volksgezondheid;

Gelet op de dynamiek van actoren, zowel uit de privésector als uit de overheidssector, die aan medisch onderzoek doen en de oprichting van steeds meer patiëntenverenigingen;

Gelet op de noodzaak om de uitdagingen te begrijpen en hierop te anticiperen, om de adviezen van verschillende actoren te begrijpen en te verzamelen en om adviezen en aanbevelingen te formuleren voor de regering;

Overwegende dat het begrip « innoverende therapieën » begrepen moet worden als het begrip dat de

ble les thérapies apportant une réelle plus-value thérapeutique;

Le groupe de travail estime qu'il convient, de manière nécessaire et urgente, de se donner les moyens d'anticiper cette évolution scientifique et médicale, par la mise en place : »

Les membres du groupe de travail marquent leur accord sur ces ajouts.

B. Conclusion

Les membres du groupe de travail n'ont pas d'autres remarques à propos du texte de synthèse qui n'est donc pas modifié.

Le texte modifié des recommandations s'énonce comme suit :

« RECOMMANDATIONS

Considérant que la médecine de demain évolue vers de nouvelles formes de traitement et de prise en charge du patient;

Considérant que cette évolution médicale est apparue de manière évidente à travers l'ensemble des auditions qui ont permis d'aborder les sujets du génome humain et des thérapies innovantes sous les angles de la recherche fondamentale, de la recherche appliquée, des législations belges et européennes, du secteur de la production (les sociétés pharmaceutiques), des structures fédérale et régionales de soutien à la recherche, des régulateurs financiers (INAMI et mutuelles), des associations de patients, et après avoir entendu l'avis de la ministre des affaires sociales et de la santé publique;

Considérant également l'obligation pour la Belgique de se doter d'un plan national des maladies rares, conformément aux dispositions européennes;

Considérant l'existence d'institutions publiques (KCE, ISP, CSS, ...) chargées de mener des recherches et de remettre des avis sur des questions de santé publique;

Considérant le dynamisme des acteurs, tant privés que publics, de la recherche médicale et de l'émergence de plus en plus significative des associations de patients;

Considérant la nécessité de comprendre et d'anticiper les enjeux, d'entendre et de rassembler les avis des multiples acteurs, et de formuler des avis et des recommandations au gouvernement;

Considérant qu'il convient de comprendre l'expression « thérapies innovantes » comme celle qui rassem-

therapieën omvat die een reële therapeutische meerwaarde hebben;

Acht de werkgroep het raadzaam, noodzakelijk en dringend dat men zich van de middelen voorziet om op die wetenschappelijke en geneeskundige ontwikkeling te anticiperen, door de oprichting : »

De leden van de werkgroep stemmen in met deze toevoegingen.

B. Conclusie

De leden van de werkgroep hebben geen verdere opmerkingen bij de synthesetekst, die niet gewijzigd wordt.

De gewijzigde tekst van de aanbevelingen luidt als volgt :

« AANBEVELINGEN

Gelet op het feit dat de geneeskunde van de toekomst nieuwe behandelingen ontwikkelt en nieuwe manieren om de patiënten op te vangen;

Overwegende dat deze medische evolutie zeer duidelijk is gebleken uit het geheel van hoorzittingen waarbij het onderwerp van het menselijk genoom en de innoverende therapieën is benaderd vanuit de invalshoek van het fundamenteel onderzoek, het toegepast onderzoek, de Belgische en Europese wetgeving, de productiesector (de farmaceutische firma's), de federale en gewestelijke structuren voor de ondersteuning van het onderzoek, de financiële regulatoren (RIZIV en mutualiteiten), de patiëntenverenigingen, en na het advies te hebben gehoord van de minister van sociale zaken en volksgezondheid;

Tevens rekening houdend met de verplichting die België heeft om, overeenkomstig de Europese bepalingen, een nationaal plan betreffende de zeldzame ziekten op te stellen;

Overwegende dat er overheidsinstellingen zijn (KCE, WIV, HGR, ...) die als taak hebben onderzoek te voeren naar en advies te geven over onderwerpen die vallen onder volksgezondheid;

Gelet op het dynamisme van de actoren op het vlak van medische research, zowel uit de privé als uit de publieke sector, en op de steeds duidelijkere aanwezigheid van de patiëntenverenigingen;

Rekening houdend met de noodzaak om te begrijpen en vooruit te lopen op wat er speelt, om de meningen van de verschillende actoren te horen en te verzamelen en om adviezen en aanbevelingen te formuleren voor de regering;

Aangezien het belangrijk is het begrip « innoverende therapieën » te begrijpen : hieronder verstaat

ble les thérapies apportant une réelle plus-value thérapeutique;

Le groupe de travail estime qu'il convient, de manière nécessaire et urgente, de se donner les moyens d'anticiper cette évolution scientifique et médicale, par la mise en place :

— d'une structure (plate-forme/observatoire) des thérapies avancées et du séquençage du génome humain, rassemblant les différents acteurs publics et privés, chargé d'échanger sur les avancées en matière scientifique et ses applications potentielles, sur les stratégies politiques et économiques, et d'analyser le suivi des multiples défis, afin de servir d'aide à la décision politique. Cette structure (plate-forme/observatoire), en suscitant la collaboration d'organismes et d'institutions reconnues (par exemple le KCE, l'ISP, le CSS, ...), développera son travail autour de quatre axes principaux :

- le financement de la recherche en soutenant, par exemple, les possibilités de défiscalisation des dons;
- l'implication des patients;
- les défis éthiques en établissant une cartographie de ces défis;
- l'efficacité, l'efficience et l'accessibilité des thérapies avancées par le maintien des mécanismes de solidarité;

— de demander au KCE d'initier sans tarder un « *horizon scanning* » sur les thérapies innovantes;

L'innovation scientifique et médicale n'est pas une fin en soi. C'est le patient qui en constitue la seule raison d'être. »

Confiance est faite au rapporteur pour la présentation d'un rapport à la commission des Affaires sociales.

Le président-rapporteur,

André du BUS de WARNAFFE.

men immers therapieën die een ware therapeutische meerwaarde bieden;

Vindt de werkgroep dat het absoluut en dringend nodig is om te voorzien in de middelen om op deze wetenschappelijke en medische evolutie vooruit te lopen door middel van de volgende maatregelen :

— een structuur (platform/observatorium) voor geavanceerde therapieën en sequentiebepaling van het menselijk genoom oprichten. Daarin moeten de verschillende actoren uit de publieke en privésector worden samengebracht. Er dient informatie te worden uitgewisseld over de wetenschappelijke doorbraken en de mogelijke toepassingen hiervan en over de politieke en economische strategieën. Deze aanbevelingen horen een follow-up te krijgen, waarmee ondersteuning kan worden geboden aan de politieke beleidsmakers. Deze structuur (platform/observatorium) steunt op de samenwerking van erkende organisaties en instellingen (bijvoorbeeld het KCE, ISP, HGR, ...) en zou haar werk voornamelijk opbouwen rond de vier volgende pijlers :

- de financiering van het onderzoek, door bijvoorbeeld de giften vrij te stellen van belasting;
- het betrekken van patiënten;
- het aangaan van ethische uitdagingen, door deze uitdagingen in kaart te brengen;
- het doeltreffend, efficiënt en toegankelijk houden van de geavanceerde therapieën, door de solidariteitsmechanismen in stand te houden;

— het KCE vragen om onverwijld de horizon te « scannen » in verband met de innoverende therapieën;

Wetenschappelijke en medische vooruitgang is geen doel op zich. Het draait allemaal om de patiënt. »

Er wordt vertrouwen gegeven aan de rapporteur voor het opstellen van een verslag aan de commissie voor de Sociale Aangelegenheden.

De voorzitter-rapporteur,

André du BUS de WARNAFFE.