

SÉNAT DE BELGIQUE

SESSION DE 2010-2011

9 SEPTEMBRE 2011

Proposition de résolution relative aux défis posés par l'émergence des médicaments de thérapie avancée

(Déposée par
M. André du Bus de Warnaffe)

DÉVELOPPEMENTS

Cette proposition de résolution a été déposée précédemment à la Chambre des représentants par M. Josy Arens.

1. Perspectives offertes par les médicaments innovants

Malgré les progrès importants accomplis dans le domaine médical et scientifique au cours de ces dernières décennies, force est de constater que, à ce jour, beaucoup trop de maladies n'ont pas encore reçu de traitement adéquat. Aussi, la naissance d'une nouvelle discipline, la biomédecine, suscite-t-elle autant d'intérêt que d'espoir.

Née des développements récents en biologie moléculaire et cellulaire, cette discipline nous permet de mieux comprendre la pathophysiologie. À terme, cette connaissance pourrait nous mener à des thérapies nouvelles plus ciblées pour traiter des maladies, des blessures et des dysfonctionnements du corps humain pour lesquels il n'existe que peu, voire pas du tout, d'options thérapeutiques.

Une des innovations récentes concerne les produits pharmaceutiques de « thérapie avancée » (*Advanced Therapy Medicinal Products* — ATMP). Sous ce vocable, on désigne la thérapie génique, la thérapie cellulaire somatique et l'ingénierie tissulaire.

BELGISCHE SENAAT

ZITTING 2010-2011

9 SEPTEMBER 2011

Voorstel van resolutie betreffende de uitdagingen die gepaard gaan met de opkomst van de geneesmiddelen voor geavanceerde therapie

(Ingediend door
de heer André du Bus de Warnaffe)

TOELICHTING

Dit voorstel van resolutie werd reeds eerder ingediend in de Kamer van volksvertegenwoordigers door de heer Josy Arens.

1. Innoverende geneesmiddelen: een waaier van perspectieven

Ondanks de grote vooruitgang die de jongste decennia op medisch en wetenschappelijk vlak werd geboekt, blijft het een betreurenswaardig feit dat voor al te veel ziekten nog geen passende behandeling bestaat. In die context wekt de opkomst van een nieuwe discipline, de biogeneeskunde, zowel belangstelling als hoop.

De biogeneeskunde is ontstaan uit de recente ontwikkelingen in de moleculaire en de cellulaire biologie en biedt meer inzicht in de pathofysiologie. Op termijn moet die kennis leiden tot nieuwe en gerichtere therapieën voor de behandeling van ziekten, verwondingen en dysfuncties van het menselijk lichaam waarvoor tot dusver nauwelijks of geen therapieën bestaan.

Een van de recente innovaties in dat domein zijn de geneesmiddelen voor geavanceerde therapie (*Advanced Therapy Medicinal Products* — ATMP). Onder die noemer vallen de gentherapie, de celtherapie en de weefselmanipulatie.

Actuellement, les avancées les plus remarquables se font dans le domaine des thérapies cellulaires. Celles-ci pourraient offrir aux patients des traitements qui, non seulement, agissent contre les symptômes de la maladie mais, en plus, s'orientent vers la (les) cause(s) de la maladie. Régénérer ou restaurer des tissus humains avec leur fonctionnalité correspondante devient donc un objectif réaliste. Des exemples de traitements futurs tendraient ainsi à régénérer du tissu cardiaque sain après un infarctus du myocarde ou encore à ralentir la dégénération des fonctions cérébrales. Actuellement, plusieurs thérapies sont déjà en phase de développement clinique.

2. Suivi au niveau européen

Cette évolution scientifique bénéficie, au niveau européen, d'un financement dans le cadre du «septième programme-cadre de recherche et de développement technologique» qui couvre la période 2007-2013 et fait l'objet d'une nouvelle réglementation (CE N° 1394/2007), entrée en vigueur dans l'Union européenne le 30 décembre 2008.

L'évaluation des médicaments de thérapie innovante demande une expertise très spécifique, qui va au-delà du domaine pharmaceutique traditionnel et qui se situe à la frontière d'autres disciplines. C'est pour cette raison que l'Agence européenne des médicaments (*European Medicines Agency* — EMA) a établi un nouveau Comité: le Comité pour les thérapies innovantes (*Committee for Advanced Therapies* — CAT). Ce Comité a pour principale vocation d'évaluer la qualité, la sécurité et l'efficacité des médicaments de thérapie innovante, dans le cadre de la procédure européenne centralisée de mise sur le marché de médicaments.

Il devrait dès lors disposer de la meilleure expertise possible, assurer un niveau élevé d'évaluation scientifique de ces médicaments afin de conserver la confiance des patients et des professions médicales et de faciliter l'accès de ces technologies novatrices au marché communautaire.

L'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS) est représentée dans ce Comité.

3. Implication de la Belgique

En Belgique, plusieurs *spin-off* ou PME installées dans nos trois régions ont investi dans le développement et la mise au point de thérapies innovantes.

Momenteel worden op het stuk van de celtherapieën de grootste stappen vooruit gezet. Die therapieën zouden de patiënten behandelingen kunnen bieden die niet alleen de symptomen, maar ook de oorza(a)k(en) van hun aandoening aanpakken. Het is dan ook realistisch te stellen dat het mogelijk wordt over te gaan tot de regeneratie of het herstel van menselijk weefsel, inclusief de aan dat weefsel eigen functies. Voorbeelden van behandelingen die in de toekomst tot de mogelijkheden kunnen behoren, zijn de regeneratie van gezond hartweefsel na een hartinfarct of de vertraging van het degeneratieproces van de hersenfuncties. Momenteel zitten verschillende van die therapieën al in de fase van de klinische ontwikkeling.

2. Europees raamwerk

Op Europees vlak kan die wetenschappelijke ontwikkeling bogen op financiering via het «Zevende kaderprogramma voor onderzoek en technologische ontwikkeling», dat de periode 2007-2013 bestrijkt en geregeld wordt door een recente verordening (EG nr. 1394/2007), die op 30 december 2008 in de Europese Unie in werking is getreden.

De evaluatie van de geneesmiddelen voor innoverende therapie vergt een zeer specifieke deskundigheid, die verder gaat dan de klassieke farmaceutica en tevens andere vakdomeinen raakt. Om die reden werd binnen het Europees Geneesmiddelenbureau (*European Medicines Agency* — EMA) een nieuw comité opgericht: het Comité voor Geavanceerde Therapieën (*Committee for Advanced Therapies* — CAT). Dat comité heeft als hoofdtak de kwaliteit, de veiligheid en de werkzaamheid van de geneesmiddelen voor geavanceerde therapie na te gaan, in het raam van de gecentraliseerde Europese procedure voor de commercialisering van geneesmiddelen.

Daarom moet dat comité over de grootst mogelijke deskundigheid kunnen beschikken, alsook garant kunnen staan voor een kwaliteitsvolle wetenschappelijke evaluatie van die geneesmiddelen, teneinde het vertrouwen van de patiënten en de gezondheidswerkers in stand te houden en ervoor te zorgen dat die innoverende technologieën makkelijker toegang krijgen tot de Europese markt.

Het Federaal Agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten (FAGG) is in dat comité vertegenwoordigd.

3. Rol van België

In de drie gewesten van België hebben heel wat *spin-offs* of kmo's geïnvesteerd in de ontwikkeling en de perfectie van geavanceerde therapieën.

Il convient de souligner que le premier médicament (et le seul actuellement) issu de la thérapie cellulaire est «*Made in Belgium*». Ce produit a reçu l'*EU Marketing Authorisation* en 2009. Son application concerne la médecine régénérative.

4. Nécessité d'un cadre réglementaire adapté

Le développement de médicaments de thérapie innovante est tout sauf une évidence: les défis sont nombreux, tant pour les autorités nationales que pour les PME développant ces produits.

Ainsi, pour permettre l'émergence des thérapies avancées, des cadres réglementaires complémentaires au cadre réglementaire européen sont nécessaires; adaptés, par exemple, au développement clinique. Une harmonisation des critères d'évaluation nationaux, ou encore des modalités particulières d'accès pour le patient, sont également nécessaires.

L'absence de cadre transparent, reprenant tous les aspects du développement et de la mise à disposition de ces thérapies (allant du développement du produit, par la recherche clinique et la mise sur le marché, jusqu'à l'accès à la thérapie par le patient) pourrait avoir pour conséquence une réticence des PME de biotechnologie à entreprendre, ou à continuer, leurs activités dans ce domaine.

Ce qui serait regrettable, dans la mesure où les entreprises installées dans nos régions ont une position compétitive dans ce secteur innovateur. Elles constituent un atout important dans le développement économique belge.

Encore faut-il que ces cadres réglementaires complémentaires ne soient pas rigides ou figés, mais plutôt souples et évolutifs car les progrès scientifiques dans le domaine des biotechnologies évoluent très rapidement et requièrent des adaptations réglementaires régulières.

Seulement si tous les facteurs de succès sont présents (comme des possibilités de financement stimulant la recherche et le développement et un cadre légal adéquat et réaliste), le développement de ces thérapies avancées et innovantes aura une chance d'aboutir.

In dat verband zij erop gewezen dat het eerste — en tot dusver enige — geneesmiddel dat uit de celtherapie is ontstaan, het label *Made in Belgium* draagt. Het product verkreeg in 2009 de *EU Marketing Authorisation* en wordt gebruikt in de regeneratieve geneeskunde.

4. Noodzaak van een aangepast regelgevend raamwerk

De ontwikkeling van geneesmiddelen voor innoverende therapie ligt allesbehalve voor de hand en vergt dat heel wat uitdagingen worden aangegaan, zowel door de nationale overheden als door de kmo's die dergelijke producten ontwikkelen.

Zo is het, om de opkomst van de geavanceerde therapieën mogelijk te maken, nodig het Europees regelgevend raamwerk op verschillende punten aan te vullen, bijvoorbeeld wat de klinische ontwikkeling betreft. Voorts is er nood aan een harmonisering van de nationale evaluatiecriteria of nog van de specifieke voorwaarden waaronder de patiënt toegang krijgt tot die therapieën.

Door het ontbreken van een transparant raamwerk dat alle aspecten van de ontwikkeling en de terbeschikkingstelling van die therapieën behelst (gaande van de ontwikkeling over het klinische onderzoek en de commercialisering tot de beschikbaarheid voor de patiënt), dreigen de in de biotechnologie actieve kmo's minder geneigd te zijn nieuwe initiatieven in dat domein te nemen of bestaande initiatieven voort te zetten.

Dat zou jammer zijn, zeker als men bedenkt dat de in de drie gewesten van ons land gevestigde bedrijven in deze innovatie sector een speerpuntpositie innemen. Ze vormen dan ook een grote troef voor de economische ontwikkeling van België.

Wel mogen die aanvullende reglementaire raamwerken niet rigide zijn of verstarrend werken, maar moeten integendeel soepel en evolutief worden opgevat. In de biotechnologie wordt immers met rasse schreden wetenschappelijke vooruitgang geboekt, wat regelmatige bijstellingen van de regels vergt.

Alleen als alle succesfactoren aanwezig zijn (zoals financieringsmogelijkheden die het onderzoek en de ontwikkeling stimuleren, alsook een doeltreffend en realistisch wettelijk raamwerk), maakt de ontwikkeling van die geavanceerde en innoverende therapieën een kans op slagen.

5. Associations belges encadrant ces activités innovantes

Plusieurs associations encadrent les activités de ces entreprises innovantes.

Au niveau fédéral, Bio.be, l'association belge de l'industrie biotechnologique (www.bio.be), représente les sociétés et les professionnels du secteur actifs dans la recherche et du développement (R&D), la production et la mise sur le marché d'applications biotechnologiques. Cette association compte parmi ses membres plusieurs sociétés impliquées dans la R&D de produits de thérapie avancée. L'association est bien consciente des défis auxquels ces sociétés font face et soutient pleinement toutes les initiatives facilitant le succès de ces entreprises belges. Pour ce faire, elle a créé un groupe de travail « *Advanced Therapies* », qui est très actif.

Au niveau régional, BioWin (www.biowin.org) est le Pôle de compétitivité Santé de Wallonie. Son rôle est de fédérer tous les acteurs wallons investis dans des projets innovants et/ou l'enseignement dans les domaines des biotechnologies et de la santé. Les thérapies innovantes (par exemple: la médecine régénérative, la thérapie cellulaire, les thérapies siRNA, etc.) font partie des thèmes technologiques retenus par la Wallonie. Côté néerlandophone, FlandersBio (www.flandersbio.be) veut soutenir et étendre le développement du secteur des biosciences et de la biotechnologie.

6. Incidence de la présidence belge de l'Union européenne 2010

La présidence belge de l'Union européenne (UE), qui a eu lieu en ce second semestre 2010, a retenu l'innovation thérapeutique parmi ses priorités dans le domaine de la santé.

Dans le cadre de cette présidence, un comité ministériel a été organisé les 23 et 24 septembre 2010, à l'Institut national d'assurance maladie-invalidité (INAMI), à l'initiative de l'Agence fédérale des médicaments et des produits de santé (AFMPS) et de l'INAMI, autour du thème « innovation et solidarité ».

Il est important que nos régions trouvent leur place dans l'espace européen de la recherche :

1. pour bénéficier des instruments mis en place dans le cadre du septième programme-cadre de recherche et de développement technologique;

5. Belgische verenigingen ter ondersteuning van die innoverende activiteiten

De bedrijven in deze innoverende sector kunnen bogen op de steun van verschillende verenigingen.

Op federaal vlak is er Bio.be, de *Belgian Biotechnology Industry Organisation* (www.bio.be). Die vereniging vertegenwoordigt de bedrijven en beroepsmensen die actief zijn inzake onderzoek en ontwikkeling (O&O), alsook inzake productie en commercialisering van biotechnologische toepassingen. Tot haar leden behoren ook verschillende bedrijven die aan O&O doen op het stuk van de geneesmiddelen voor geavanceerde therapie. De vereniging is zich er terdege van bewust dat de bedrijven in de sector voor grote uitdagingen staan en ondersteunt ten volle elk initiatief dat het succes van die Belgische bedrijven kan bevorderen. Daartoe heeft ze een werkgroep *Advanced Therapies* opgericht, die zeer actief is.

Op gewestelijk vlak vormt BioWin (www.biowin.org) de Concurrentiecluster Gezondheidszorg van Wallonië. BioWin heeft als taak alle Waalse actoren te bundelen die actief zijn in innoverende projecten en/of in het onderwijs van biotechnologie en gezondheid. De geavanceerde therapieën (bijvoorbeeld de regeneratieve geneeskunde, de celtherapie, de siRNA-therapieën, enz.) maken deel uit van de door Wallonië in aanmerking genomen biotechnologische thema's. Aan Nederlandstalige zijde heeft FlandersBio (www.flandersbio.be) zich tot doel gesteld de ontwikkeling van de sector van de biowetenschappen en de biotechnologie te ondersteunen en te bevorderen.

6. Impact van het Belgische voorzitterschap van de Europese Unie in 2010

Op de agenda van het Belgische voorzitterschap van de Europese Unie (EU), gedurende dit tweede semester van 2010, stond de therapeutische innovatie vermeld bij de prioriteiten inzake gezondheidszorg.

In het raam van dat voorzitterschap werd op 23 en 24 september 2010, bij het Rijksinstituut voor ziekten en invaliditeitsverzekering (RIZIV) en op initiatief van dat RIZIV en het Federaal Agentschap voor geneesmiddelen en gezondheidsproducten (FAGG), een interministeriële conferentie gehouden over het thema « innovatie en solidariteit ».

Het is van belang dat onze gewesten een plaats krijgen in de Europese onderzoeksruimte, teneinde :

1. een beroep te kunnen doen op de instrumenten die ter beschikking worden gesteld via het Zevende kaderprogramma voor onderzoek en technologische ontwikkeling;

2. pour participer aux réseaux d'excellence ainsi qu'aux projets intégrés;

3. pour créer des contacts et des synergies entre chercheurs et entreprises innovantes de toutes origines, afin de favoriser les collaborations.

Il est tout particulièrement important que les PME puissent profiter de ces opportunités et que la bureaucratie soit réduite. On constate, en effet, que la plupart des financements des programmes de recherche de l'UE bénéficient davantage aux grandes entreprises qu'aux petites et moyennes entreprises, qui ne peuvent se permettre de longues et coûteuses procédures de demande.

On peut espérer que la présidence belge se sera inscrite dans cette perspective et aura visé à favoriser toutes les passerelles entre la recherche, l'innovation et l'enseignement supérieur, afin de développer encore davantage notre potentiel de recherche européen et de mieux le transformer en retombées économiques et en emplois.

André du BUS de WARNAFFE.

*
* *

PROPOSITION DE RÉOLUTION

Le Sénat,

A. vu les progrès scientifiques récents en biotechnologie cellulaire et moléculaire, conduisant à la mise au point de thérapies innovantes;

B. considérant que les thérapies innovantes représentent un immense espoir pour des milliers de patients dont la maladie n'a pas encore reçu, à ce jour, un traitement adéquat;

C. considérant que la recherche scientifique et l'innovation technologique soutiennent le progrès et l'expansion économique, la promotion sociale et la création d'emplois dans notre pays ainsi que la coopération scientifique internationale;

D. considérant que l'émergence des médicaments de thérapie innovante confronte les autorités nationales à des défis spécifiques, en termes de développement, de prise à charge financière et de mise à disposition de ces thérapies pour les patients;

2. deel te kunnen nemen aan de expertisenetwerken en de geïntegreerde projecten;

3. contacten en synergie tot stand te kunnen brengen tussen onderzoekers en innoverende bedrijven — van waar ook — en aldus samenwerking te bevorderen.

Het is van bijzonder groot belang dat de kmo's ook van die mogelijkheden gebruik kunnen maken en dat de administratieve rompslomp tot een minimum beperkt blijft. Nu gaat het meeste geld van de EU-onderzoeksprogramma's immers naar de grote bedrijven, ten koste van de kmo's, die zich geen lange en dure aanvraagprocedures kunnen veroorloven.

Het valt te hopen dat het Belgische voorzitterschap dat oogmerk ook daadwerkelijk zal hebben nagestreefd en de transversaliteit tussen onderzoek, innovatie en hoger onderwijs zal hebben bevorderd, teneinde ons Europees onderzoekspotentieel nog te vergroten en beter om te zetten in economische resultaten en werkgelegenheid.

*
* *

VOORSTEL VAN RESOLUTIE

De Senaat,

A. wijst op de recente wetenschappelijke vooruitgang op het stuk van de cellulaire en de moleculaire biotechnologie, die leidt tot nieuwe geavanceerde therapieën;

B. stipt aan dat naar de geavanceerde therapieën echt wordt uitgekeken door duizenden patiënten die lijden aan een ziekte waarvoor tot dusver nog geen doeltreffende behandeling bestaat;

C. attendeert erop dat het wetenschappelijk onderzoek en de technologische innovatie bijdragen tot vooruitgang, economische expansie, sociale promotie en werkgelegenheid in ons land, alsook tot internationale wetenschappelijke samenwerking;

D. onderstreept dat de opkomst van de geneesmiddelen voor geavanceerde therapie de nationale overheden voor specifieke uitdagingen plaatst, wat de ontwikkeling en de financiële tenlasteneming van die therapieën en de terbeschikkingstelling ervan aan de patiënten betreft;

E. vu la nécessité d'avoir une expertise de haut niveau lors de la procédure de remboursement,

Demande au gouvernement :

1. que la Belgique prenne l'initiative d'organiser une réflexion sur les défis spécifiques posés par l'émergence des médicaments de thérapie innovante;

2. que, en collaboration avec les trois régions, le gouvernement fédéral prenne l'initiative d'un plan d'action «Thérapies Avancées» visant à stimuler la recherche, le développement, la disponibilité et l'accès aux médicaments de thérapie innovante dans notre pays;

3. la création d'une plate-forme stratégique dénommée «ATMP» (*Advanced Medicinal Therapy Products*), composée de représentants du gouvernement, du Service public fédéral (SPF) Santé publique, Sécurité de la chaîne alimentaire et Environnement, de l'INAMI et des sociétés investissant en Belgique dans les thérapies avancées;

4. l'institution par le service des Soins de santé de l'INAMI d'un «Collège d'experts spécifiques pour les médicaments de thérapie innovante», afin d'apporter une aide adéquate et pertinente à la Commission de remboursement des médicaments (CRM) dans son activité d'évaluation et dans sa prise de décisions et de formulation d'avis.

2 septembre 2011.

André du BUS de WARNAFFE.

E. wijst op de noodzaak van een hoog deskundigheidsniveau bij de afhandeling van de terugbetalingsprocedure,

Verzoekt de regering :

1. ervoor te zorgen dat België een reflectie op gang brengt over de specifieke uitdagingen die de opkomst van de geneesmiddelen voor geavanceerde therapie met zich brengt;

2. in samenspraak met de drie gewesten, een actieplan «Geavanceerde Therapieën» uit te werken, ter bevordering van het onderzoek naar, alsook de ontwikkeling van, de beschikbaarheid van en de toegang tot de geneesmiddelen voor geavanceerde therapie in ons land;

3. een strategisch platform «ATMP» (*Advanced Therapy Medicinal Products*) op te richten, dat zou bestaan uit vertegenwoordigers van de regering, de Federale Overheidsdienst (FOD) Volksgezondheid, Veiligheid van de Voedselketen en Leefmilieu, het RIZIV en de bedrijven die in België investeren in geavanceerde therapieën;

4. de dienst Gezondheidszorg van het RIZIV te belasten met de oprichting van een «Specifiek deskundigencollege voor de geneesmiddelen voor geavanceerde therapie», dat de Commissie Tegemoetkoming Geneesmiddelen (CTG) passende en relevante steun moet bieden bij de evaluatie, de besluitvorming en de formulering van adviezen.

2 september 2011.