

30 jan 2025 -00:00

Hoe kan de academische wereld een grotere rol spelen bij de ontwikkeling van geavanceerde geneesmiddelen?

ATMP's (Advanced Therapy Medicinal Products) zijn complexe geneesmiddelen op basis van cellen, genen en weefsels. Ze worden momenteel vooral gebruikt en ontwikkeld voor de behandeling van bepaalde vormen van kanker of van genetische aandoeningen. De ATMP's die momenteel door de industrie op de markt worden gebracht, zijn schaars en zijn dikwijls zeer duur, tot meerdere miljoenen euro per behandeling. Op verzoek van verschillende Belgische kankerverenigingen ging het Federaal Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg (KCE) na hoe de rol van de Belgische universiteiten hierin kan geoptimaliseerd worden, zodat patiënten gemakkelijker toegang tot deze geneesmiddelen krijgen. Het vereist dat zowel overheden als academici over een grondige expertise beschikken en nauwer samenwerken. Bovendien loopt de ontwikkeling van dit soort producten over meerdere jaren, en moet de financiering ook een voldoende lange periode bestrijken en minder versnipperd zijn.

ATMP's zijn complexe geneesmiddelen op basis van cellen, genen en weefsels, die gebruikt worden o.a. voor de behandeling van kanker of van genetische aandoeningen. Ze zijn veelbelovend, want in de toekomst kunnen ze hopelijk gebruikt worden voor een hele reeks andere aandoeningen, die nu nog ongeneeslijk zijn. Dikwijls voeren de universiteiten de eerste stappen van het onderzoek naar ATMP's uit. De latere fasen van ontwikkeling, aanvraag van marktvergunning en commercialisatie gebeuren echter vooral door de industrie.

ATMP's vaak moeilijk verkrijgbaar voor patiënten

Ruim 5 jaar geleden leerde iedereen in België baby Pia kennen. Het meisje lijdt aan een zeldzame genetische spierziekte. De levensreddende gentherapie Zolgensma®, van de firma Novartis, bleek peperduur (1,9 miljoen €) en werd toen niet terugbetaald door het RIZIV. Dankzij crowdfunding, georganiseerd door de ouders, kon dit bedrag uiteindelijk worden ingezameld. Ondertussen wordt Zolgensma in België wel terugbetaald voor kinderen onder de 2 jaar.

Innovatieve behandelingen, zoals Zolgensma® kregen veel aandacht, maar ook andere ATMP's, zoals CAR-T therapieën tegen kanker, kampen met dezelfde uitdagingen: de prijzen zijn extreem hoog, de technologie is complex, het aantal patiënten is vaak klein en het genereren van voldoende klinisch bewijs is moeilijk, vooral voor de effecten op lange termijn.

In sommige ATMP's wil de industrie niet investeren, wegens commercieel niet interessant. Als een bedrijf een ATMP wel de moeite waard vindt, haalt ze het later soms toch nog van de markt, meestal om dezelfde reden. Dit is gebeurd bij 7 van de 27 ATMP's met een EU-marktvergunning. In België is minder dan de helft van de in de EU vergunde ATMP's beschikbaar, en ze worden allen terugbetaald via een vertrouwelijke overeenkomst (de prijs die het bedrijf met het RIZIV is overeengekomen, is dus niet publiek gekend).

Steeds meer gevallen van academische ontwikkeling

Het KCE ging na hoe de academische instellingen een grotere rol kunnen spelen in de ontwikkeling en het beschikbaar stellen van ATMP's aan patiënten, via klinische studies, een ziekenhuis bereiding (ziekenhuisvrijstelling), of via een eventuele commercialisatie. Inspiratie hiervoor kan gevonden worden in

Nederland en Spanje, waar academische teams een product ontwikkelden en het op de markt aan het brengen zijn. Onlangs besloot een grote stichting in Italië om een ATMP, dat door de industrie was opgegeven, opnieuw op de markt te brengen.

Beperkt aantal academische klinische studies in België

Er lopen vele klinische studies met ATMP's in België, maar slechts een klein aantal wordt door de academische instellingen zelf georganiseerd. De meerderheid van de financiële steun hiervoor komt van de EU, de deelstaten of van non-profit organisaties (zoals Kom op tegen Kanker of de Stichting tegen Kanker).

Met een ziekenhuisvrijstelling kan een ontwikkelaar zijn ATMP aanbieden aan individuele patiënten in een ziekenhuis, onder strikte voorwaarden, zonder dat de moeilijke procedure van een EU-marktvergunning moet worden doorlopen. Sinds de invoering van deze mogelijkheid (2017) is er in België hiervoor echter weinig interesse: het FAGG (Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten) heeft er slechts één toegekend, en dat was aan een commerciële spin-off. De universiteiten en het FAGG blijken de voorwaarden voor ziekenhuisvrijstelling verschillend te interpreteren, waarbij de academici geloven dat het bijna onmogelijk is om aan de voorwaarden te voldoen.

Versnipperde bevoegdheden en financiering

Het KCE bestudeerde de wetenschappelijke literatuur en de buitenlandse voorbeelden, en bevroeg Belgische stakeholders. Een aantal pijnpunten blijken de toename van universitaire ATMP's te vertragen of zelfs te belemmeren.

De benodigde expertise blijkt erg versnipperd te zijn, net als de bevoegdheden en de motivatie voor financiering. Zo beoogt de huidige overheidsfinanciering via de deelstaten vooral een positieve impact op economie, tewerkstelling en onderzoek, en houdt ze niet structureel rekening met de behoeften inzake volksgezondheid.

Voorwaarden voor een efficiënte steun van academisch ontwikkelde ATMP's

Het KCE stelde een aantal oplossingen voor om steun voor de academische ontwikkeling van ATMP's in België meer efficiënt te maken.

Er is een duidelijke nood aan voldoende stabiele financiële middelen over een voldoende lange periode, die minder versnipperd zijn. Deze kunnen worden toegekend door de federale overheid en de deelstaten, als ze gezamenlijk prioriteiten stellen, de haalbaarheid van het project nagaan, en nagaan of ze de EU-regels inzake staatssteun niet overtreden. Ook moeten er bv bij het tot stand komen van een samenwerking met de industrie garanties worden overwogen dat de resultaten uit de door de overheid gefinancierde onderzoeken, beschikbaar en betaalbaar zijn én blijven voor de samenleving.

Voor de regels inzake ziekenhuisvrijstelling, die momenteel op EU-niveau worden herzien, pleit het KCE voor meer harmonisatie tussen de lidstaten, die nu nog elk hun voorwaarden vastleggen. Voor België beveelt het KCE aan dat het FAGG de concrete interpretaties van de voorwaarden op zijn website publiceert en dat het actief de mogelijkheid tot informeel overleg stimuleert met de universiteiten, voordat ze hun aanvraag indienen.

Naast financiering, is er ook zowel bij de overheid als bij de universiteiten nood aan meer gebundelde en toegankelijke translationele expertise en samenwerking.

Federaal Kenniscentrum voor de Gezondheidszorg
Administratief Centrum Kruidtuin, Doorbuilding (10e
verdieping)
Kruidtuinlaan 55
1000 Brussel
België
+32 2 287 33 88
<http://kce.fgov.be>

Gudrun Briat
Wetenschappelijke communicatie
+32 475 274 115
press@kce.fgov.be