

Na de verwelkoming van voorzitter Patrick wordt een minuut stilte gevraagd voor de slachtoffers van de vreselijke aanslag in Brussel en Zaventem deze week.

Waarna de voorstelling van de spreker van deze namiddag: apotheker Marc Doods, ziekenhuisapotheker in het UZ, nu werkzaam bij studies op nieuwe (vooral wees-) geneesmiddelen, en ook werkzaam als vrijwilliger in het museum van het ziekenhuis.

Hierna volgt een beknopte samenvatting van zijn voordracht.

- Reeds 500 jaar geleden heeft een zekere Rembert Dodoens een zeer lijvig kruidenboek (1492 blz) geschreven met de beschrijving, werkzaamheid en nevenwerkingen van alle hier gevonden planten. In zijn laatste boek had hij het over zeldzame ziektes.

In die tijd hadden zij echter niet de middelen voor diagnose, preventie en behandeling.

- Priorij Ter Bank, even buiten de Tervuurse poort in Leuven : daar werden zeldzame ziektes behandeld aanvankelijk enkel lepra.
- Weesgeneesmiddelen = ieder product dat bestaat voor de diagnose, preventie, behandeling van een aandoening voor een aantal patiënten < 5:10000.

Daarvoor krijgen de firma's van de wetgever bepaalde faciliteiten , oa protocolassistentie, 10 jaar exclusiviteit, vrijheid van taks in alle Europese landen (via een gecentraliseerde EU-procedure), vergemakkelijkte terugbetalingsvoorwaarden.

Zo zijn er een 120tal weesgeneesmiddelen. Voor longfibrose zijn er voorlopig **2** (orale): **ESBRIET** van de firma Roche, en **OFEV** van de firma Boehringer. Oorspronkelijk werden die parenteraal (via infuus) toegedient. Daarvoor moesten patiënten om de 2 weken naar het UZ komen. Nu in tabletvorm te verkrijgen, maar moeten nog steeds afgehaald worden in speciale centra. Dit is achterhaald. Zullen mettertijd bij huisapotheek kunnen verkregen worden.

- Nadeel **prijs** : zeer duur, gelukkig zijn er niet al teveel dergelijke geneesmiddelen, en is het aantal patiënten met zeldzame ziekten eerder beperkt. Wij spreken hier over 3% van de kostprijs voor uitgave voor geneesmiddelen, en voor < 1% voor de totale uitgave voor volksgezondheid !
- **Kostenbeperking**: door voorwaardelijke terugbetaling mits attest professor in gespecialiseerd centrum. Een Europese wetgeving hierover bestaat er jammer genoeg nog niet. In België wordt het advies voor terugbetaling gegeven door het CTG ( Commissie Terugbetaling Geneesmiddelen ). Deze commissie bestaat uit 22 leden, waaronder afvaardigingen van de universiteit, mutualiteiten, dokters, apothekers, en de pharma-industrie. Uiteindelijk valt de beslissing bij de minister van Volksgezondheid om dit advies al dan niet te volgen en dit zo door te geven aan het RIZIV ( uitbetalingsorgaan ).
- **Behandeling** : getrouwheid van inname speelt een grote rol. Dit kan via allerlei hulpmiddelen gecontroleerd worden, zoals pillendoosjes per dag, blisters met vermelding van de dag, kan ook via de apotheek nagegaan worden ( pc ). Er bestaan ook app's voor de regelmaat van inname ( alarm ).
- **Bijsluiters** : 2 soorten : een, patiëntgericht, in eenvoudige mensentaal (bijsluiters.fagg-afmps.bef), en daarnaast is er het fameus groen boekje met de lijst van alle in België verkrijgbare geneesmiddelen ( bcfi.be ).
- **Nevenwerkingen** : kunnen soms voor problemen zorgen , zoals fotosensibiliteit, maag- en darmklachten, huidproblemen.
- **Nieuwe geneesmiddelen** in de pipe-line : er zijn zeer vele studies, en zoals prof Wuyts vorige keer vermeld heeft, hoop op een nieuwe generatie, die het herstel van het weefsel van de longblaasjes zal bevorderen. Deze studies en oppuntstelling van geneesmiddelen verloopt in verschillende fases.

1. in laboratoria : nieuw scheikundig product gevonden, testen op proefdieren.

2. *fase I* : nog geen patiënten betrokken, enkel op vrijwilligers ( sommige placebo, sommige actief product via dubbelblindstudies, bepaling van bloedspiegels, nevenwerkingen nagaan. Overgrote meerderheid sneuvelt in die fase.

*fase II* : studie op beperkt aantal patiënten. Deze krijgen enkel het werkzame product, nooit een placebo! Indien het product hiervoor slaagt, dan

*fase III* : in de handel gebracht.

Het probleem bij Longfibrose is, dat door het gering aantal patiënten, er weinig vergelijkingsmogelijkheden zijn.

- **Patient Reported Outcome Measures** : wordt zeer belangrijk : nieuwe geneesmiddelen worden vergeleken met de vorige. Hierbij zullen de patiënten betrokken worden, zoals advies inname tablet in vergelijking met infuus, levenscomfort versus levensduur, enz.
- **Patiëntenverenigingen** : bestonden vroeger niet. Nu spelen ze een steeds belangrijker rol.

Europese : Eurordis ( rare disease europe )

Belgische : Radiorg  
Vlaams Patiëntenplatform  
Longfibrosevereniging

Leuven is het expertencentrum voor de verschillende soorten Longfibrose-aandoeningen.

Met dank aan apotheker Marc Doods voor zijn verhelderend overzicht op het gebied van de medicatie, evolutie en gebruik in verband met longfibrose geneesmiddelen.