

WEESGENEESMIDDELEN IN DE PIJPLIJN

Het gaat helemaal niet zo slecht met de Europese weesgeneesmiddelen. Voor meer dan tweehonderd zeldzame aandoeningen komen of zijn al nieuwe middelen beschikbaar.

HARALD HEEMSTRA C.S.

In verschillende media is melding gemaakt van een artikel van Joppi c.s. in *British Journal of Clinical Pharmacology*.¹ Ook in *Medisch Contact*, onder de titel 'Te weinig weesgeneesmiddelen' (MC 10/2006: 389). Gesteld wordt dat de gebrekkige Europese stimuleringsmaatregelen voor de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen reden kunnen zijn voor het geringe aantal weesgeneesmiddelen dat op de markt komt. Wij menen echter dat de situatie rooskleuriger is.

Medisch Contact suggereert dat ook gebrekkige onderzoeksmethoden debet zijn aan het kleine aantal weesmedicijnen. In het oorspronkelijke artikel wordt de problematiek van zeldzame aandoeningen eveneens onderschat. Bij deze groep van aandoeningen is vaak weinig bekend van het natuurlijke beloop, klinische eindpunten en biomarkers die geschikt zijn om het resultaat van een behandeling te meten. Verder is het moeilijk om patiënten met een zeldzame aandoening te vinden, die ook nog in de inclusiecriteria van een trial passen. Om deze problemen een helpende hand te bieden, zijn er Europese stimulerende maatregelen voor fabrikanten met een product met de status van weesgeneesmiddel, zoals technische ondersteuning bij het maken van protocollen voor klinische trials en gereduceerde tarieven voor de gecentraliseerde registratieprocedure. Na registratie van het product heeft de fabrikant bovendien recht op tien jaar marktexclusiviteit.

PROOF OF PRINCIPLE

De conclusies in het artikel van Joppi (en de naar aanleiding daarvan verschenen commentaren) zijn bovendien gebaseerd op een verkeerde vergelijking.



Het aantal van 18 geregistreerde weesgeneesmiddelen uit een totaal van 255 middelen met een status van weesgeneesmiddel wordt vergeleken met het aantal van 153 geregistreerde geneesmiddelen van 193 waarvoor een aanvraag voor registratie is ingediend. De aanvraag van de status van weesgeneesmiddel kan al plaatsvinden bij een zogenaamd *proof of principle*, dus bij een eerste aanwijzing dat het product werkzaam kan zijn voor de voorgestelde indicatie. Na jaren vervolgonderzoek dat succesvol moet verlopen, kan een aanvraag voor registratie worden ingediend. In het artikel wordt de indruk gewekt dat alle 255 middelen met de status van weesgeneesmiddel al een registratieaanvraag hebben ingediend bij de Europese geneesmiddelenbeoordelingsautoriteit EMEA, vergelijkbaar met het getal van 193 'normale' geneesmiddelen. Dit is echter niet het geval, waardoor deze vergelijking mank gaat.



ONREALISTISCH

Ten slotte vergelijkt Joppi ook de situatie in de EU met die in de VS in dezelfde periode. Hij merkt hierbij op dat de Amerikaanse regelgeving rond weesgeneesmiddelen veel succesvoller is. Ook dit gaat niet volledig op. Uit eigen onderzoek blijkt dat de Amerikaanse middelen wezenlijk verschillen van de Europese. Slechts 103 (34,5%) van de 299 middelen die op 1 januari 2006 de Europese status hadden van potentieel weesgeneesmiddel, hadden op het moment van de aanvraag van deze status al een status van weesgeneesmiddel in de VS. Het zou dus veel rechtvaardiger zijn om de situatie in

de EU te vergelijken met de situatie in de VS tijdens de eerste vijf jaar van weesgeneesmiddelregelgeving daar, zoals de editor van de *British Journal of Clinical Pharmacology* ook toegeeft in zijn editorial.²

De Europese regelgeving voor weesgeneesmiddelen bestaat inmiddels zes jaar. In deze periode is het aantal weesgeneesmiddelen (met status of geregistreerd) jaarlijks toegenomen.

Feit is dat de Europese regelgeving voor weesgeneesmiddelen in de eerste zes jaar van haar bestaan meer dan 320 (potentiële) nieuwe geneesmiddelen heeft opgeleverd voor meer dan 200 zeldzame aandoeningen.³ Het is onrealistisch te veronderstellen dat al deze middelen nu al op de markt hadden moeten zijn. Maar, in tegenstelling tot die van de 'gewone' geneesmiddelen, zit de weesgeneesmiddelenpijplijn wel boordevol. ■

H.E. Heemstra,
doet promotieonderzoek naar de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen aan de Universiteit Utrecht

dr. R.L. de Vrueth,
orphan product developer voor de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen

dr. S. van Weely,
secretaris van de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen

prof. dr. H.G.M. Leufkens,
hoogleraar aan de vakgroep Farmaco-epidemiologie en Farmacotherapie van de Universiteit Utrecht, tevens voorzitter van de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen

Correspondentieadres: h.e.heemstra@pharm.uu.nl
Belangenverstrengeling: niet gemeld.

De literatuurlijst en meer MC-artikelen over weesgeneesmiddelen vindt u via www.medischcontact.nl/dezeweek.

