FOLIA PHARMACEUTICA

WEESGENEESMIDDELEN

WAARDE LEZERS,

De drukste tijd van het jaar is aangebroken, met sinterklaas net achter de rug en kerst en nieuwjaar in het vooruitzicht gaan we hopelijk mooie dagen tegemoet.

Ondertussen heeft natuurlijk niemand stilgezeten. Er hebben vele belangrijke en vooral leuke activiteiten vanuit de K.N.P.S.V. plaatsgevonden, waaronder het functionarissenweekend met de eerste Algemene Vergadering van het huidige bestuur en het eerste deel van de TWIN uitwisseling. Ook wij als commissie ter redactie van de Folia Pharmaceutica zijn druk aan de slag gegaan, met als resultaat het tweede nummer, dat hier voor u ligt.

Naast het nieuws en de verslagen van de vereniging is ook dit keer aandacht besteed aan een actueel thema. De keuze is gevallen op het onderwerp "weesgeneesmiddelen".

Onlangs was het Nederlandse biotechnologiebedrijf Pharming middelpunt van belangstelling in de media, omdat hun recombinant humaan fibrinogeen officieel de status weesgeneesmiddel heeft ontvangen van de FDA. In dit nummer wordt er uitgelegd wat deze status precies inhoudt, en hoe het onderzoek naar nieuwe farmaca voor ernstige, maar zeldzame aandoeningen wordt gestimuleerd. Ook wordt duidelijk wat de rolverdeling is van de Verenigde Staten en Europa in deze nieuwe ontwikkelingen. Daarnaast zal de economische kant van het verhaal worden uitgewerkt.

Ik wens u allen fijne feestdagen toe, maar nu eerst veel leesplezier!

Met vriendelijk groet,

Judith Borst (hoofdredacteur)
h.t. voorzitter van de commissie ter redactie van
de Folia Pharmaceutica 2007-2008 "Focus"

16 ONTWIKKELING VAN WEESGNEESMIDDELEN
DRS. HARALD E. HIEMSTRA

19 PHARMING VERKRIJGT WEESGENEESMIDDEL-STATUS
PERSBERICHT PHARMING

20 VERGOEDING VAN WEESGENEESMIDDELEN
PROF. DR. MAARTEN J. POSTMA
DRS. RENE VAN HULST

13 TWIN PART ONE - UTRECHT
JAN GIERSDORF

OVERIGE RUBRIEKEN

04 K.N.P.S.V.
04 PHARMACIAE SACRUM
05 AESCULAPIUS
05 UNITAS PHARMACEUTICORUM
06 AGENDA'S
08 KNPSV-LIED
08 CONTACTADVERENTIE
09 SECRETARIEEL VERSLAG SEPTEMBER AV
10 COMMISSIESTUK REDACTIECOMMISSIE
12 ZIEKENHUISFARMACIEAVOND - VERSLAG

REDACTIE

JUDITH BORST	VOORZITTER/HOOFDREDACTEUR
JASPER LODDER	SECRETARIS
ELINE STOUTJESDIJK	PENNINGMEESTER
ANNE VAN HEES	REDACTEUR I/PENNINGMEESTER II
MARTIN POOL	REDACTEUR II/DESIGN
SVEN DE KROU	REDACTEUR III

DRUKKERIJ
HEGADRUK BV
DEN HAAG

OPLAGE
2500 STUKS

SOFTWARE
QUARKXPRESS 6.1

KOPIJ
REDACTIE FOLIA PHARMACEUTICA
TAV. JASPER LODDER
HELPER KERKSTRAAT 51
9722 DA GRONINGEN
06-41747008
FOLIA0708@GMAIL.COM
TE AUDIRE NON POSSUM, MUSA SAPIENTUM FIXA EST IN AURA

Copyright 2007/2008 - Alle rechten voorbehouden. Niets uit deze uitgave mag worden verveelvoudigd en/of openbaar gemaakt door middel van druk, fotokopie, microfilm of welke andere wijze dan ookzonder voorafgaande schriftelijke toestemming van de commissie ter redactie van de Folia Pharmaceutica

K.N.P.S.V.

Waarde leden der K.N.P.S.V.,

De winter is in aantocht in Nederland. Dit houdt in dat de pepernoten in de schappen liggen, mensen massaal de griepprik gaan halen en de politie weer extra streng kan controleren op fietslichtjes. De winter brengt altijd iets gezelligs met zich mee. Kerstmis, Sinterklaas, wintersport en natuurlijk de dies van de afdelingen. Hoewel de verjaardag van de K.N.P.S.V. zelf pas in mei valt, viert de K.N.P.S.V. uiteraard graag de feestjes mee. Verder is het tweede deel van de TWIN in zicht. Op 7, 8 en 9 december zal een groep Nederlandse farmaceuten naar Münster afreizen om daar alle ins en outs van het Duitse studentenleven mee te maken. En om alvast in de sferen te komen zullen wij in Münster een ware kerstmarkt meepikken.

Na alle actitiviteiten, feestjes en tentamens zal er in de kerstvakantie ook weer genoeg tijd zijn om even te ontspannen. En hoe doe je dat beter dan met goede lectuur, zoals de Folia? De Folia heeft deze keer weesgeneesmiddelen als thema. Weesgeneesmiddelen zijn toch een beetje het ondergeschoven kindje binnen de farmacie. Waarom zou je immers tijd en geld steken in het ontwikkelen van een geneesmiddel als het toch niks oplevert? Het is goed dat de Folia meer aandacht aan dit thema besteedt, want het is natuurlijk wél belangrijk dat er medicijnen komen tegen zeldzame, veelal ernstige, ziekten. Want draait het in de farmacie allemaal om het grote geld of staat de gezondheid van de patient, van iedere patient, voorop? Dat is natuurlijk wel een mooie kerstgedachte om even over na te

denken in de vakantie.

Dan rest mij nog om jullie een fijne en ontspannen vakantie te wensen.

Met vriendelijke groet,

Emilie Gieling

h.t. voorzitter

PHARMACIAE SACRUM

Waarde leden der K.N.P.S.V.,

De Commissie ter Redactie Folia Pharmaceutica heeft inmiddels de spits afgebeten met een compleet nieuwe lay-out. In Groningen is deze nieuwe lay-out zeer goed ontvangen en ik geloof dat de overige K.N.P.S.V.-afdelingen ook dezelfde mening delen. Inmiddels zijn we alweer 3 maanden verder in het collegejaar en naderen we het eind van 2007. Dit betekent ook dat er weer vele festiviteiten als Sinterklaas en Kerst voor de deur staan. Daarnaast zullen ook alle farmaceutische studieverenigingen rond deze tijd hun Dies Natalis vieren, geheel in een eigen thema. Het thema van de Dies Natalis van Pharmaciae Sacrum is dit jaar ´Obsessions´. Woensdag 12 december zal Pharmaciae Sacrum haar 126e levensjaar vieren. Op deze dag zal het symposium met het thema 'plAesthetic Ideal', oftwel het schoonheidsideaal, plaatsvinden. 's Avonds vinden de receptie en het openingsfeest plaats. Donderdag 13 december heeft de Diescommissie een workshop ijshockey voor ons in petto met 's avonds nog een culturele avond. En het zou geen echte Diesviering zijn zonder een gala, voorafgegaan door een galadiner, op vrijdag 14 december. Al met al belooft het weer een mooie Groningse Diesviering te worden!

Gelukkig denkt de Folia-commissie in deze feestelijke tijd van de farmaceutische studenten ook aan serieuzere zaken in de wereld waar we onze aandacht aan moeten schenken. Ik ben daarom blij dat de commissie voor het thema 'Weesgeneesmiddelen' heeft gekozen. Ik denk dat de meeste studenten het fijne nog niet weten van weesgeneesmiddelen, aangezien deze com-

mercieel minder interessant zijn. Het belooft wederom een interessant nummer te worden en ik ben benieuwd welke invalshoeken van het thema belicht zullen worden in dit nummer.

Rest mij nu nog u veel plezier te wensen met het lezen van deze tweede Folia en u fijne feestdagen toe te wensen.

Met vriendelijke groet,

namens het 126e bestuur der G.F.S.V. "Pharmaciae Sacrum",

Wai-Ping Choo
h.t. praeses

„AESCULAPIUS"

Waarde leden der K.N.P.S.V.,

Het is weer tijd voor een nieuwe Folia. ''Weesgeneesmiddelen'' is dit keer het thema. Toen ik het thema te horen kreeg, moest ik eerst eerlijk gezegd even uitzoeken wat er precies onder weesgeneesmiddelen wordt verstaan. Maar we zijn eruit: weesgeneesmiddelen zijn geneesmiddelen voor zeer uitzonderlijke, bijzondere en niet veel voorkomende ziektes.

Weesgeneesmiddelen; het klinkt eigenlijk best wel een beetje eng. Een wees is een persoon zonder ouders. Geneesmiddelen die wees zijn zouden dus als het ware geen ''ouders'' hebben. Hierdoor hebben ze extra zorg nodig. Maar zouden ze deze zorg ook krijgen? Er zijn in deze tijd nog steeds zoveel mensen die overlijden aan aids en deze ziekte wordt nog steeds gezien als zeldzame ziekte. Hoe het is te voorkomen, is nu wel algemeen bekend, maar nog steeds is er geen medicijn die deze mensen kan genezen. Er zijn enkel geneesmiddelen die de symptomen gedeeltelijk onderdrukken en/of verminderen.

Tijdens mijn research op het net kwam ik erachter dat er binnen de EU gelukkig een hoop is geregeld zodat er ook daadwerkelijk extra zorg is voor die medicijnen. Hoe dit allemaal is geregeld en of het over de rest van de wereld ook goed is geregeld of misschien wel beter, zal vast in de Folia verder te lezen zijn.

Tevens is het ook weer tijd geweest om alle verjaardagen van alle verenigingen weer te vieren. „Aescualpius" mocht ook dit jaar weer een kaarsje extra op de taart. In totaal mochten we 122 kaarsjes uitblazen. In de week van 17 december a.s. zullen wij in 4 dagen uitpakken om dit alsnog groots te vieren. Daarna hebben we gelukkig 2 weken vakantie om bij te komen.

Wensen wij verder iedereen alvast een fijne vakantie en rest mij nog te zeggen:

Vivat, Crescat, Floreat, „Aesculapius"!

namens het 122ste bestuur der L.P.S.V. „Aesculapius"

Alette Ouwerling

h.t. praeses aesculapii

UNITAS PHARMACEUTICORUM

Waarde leden,

Ontwikkeling is vooruitgang, toch zou je dit niet zeggen bij het zien van een ontwikkelingsland. Chronische armoede, corruptie en oorlog zijn aan de orde van de dag. En hiervan is de bevolking altijd de dupe. Veel landen doen niet eens aan ontwikkelingshulp, of besteden er minder dan 1% van het nationaal inkomen aan. Echter zijn er wel goede doelen die geld en voedsel inzamelen bij de rijke Westerse wereld, en dit transporteren naar de ontwikkelingslanden. Maar als deze hulp al aankomt is dit alleen een druppel op de gloeiende plaat.

Weesgeneesmiddelen zou je kunnen vergelijken met ontwikkelinglanden. Ze moeten vechten voor hun leven, anders zullen ze nooit de weg naar de markt vinden. Daarnaast laten veel farmaceutische bedrijven de weesgeneesmiddelen links liggen. En opnieuw is de populatie, die wel getroffen is door een zeldzame aandoening de dupe.

Want ook het weesgeneesmiddel is afhankelijk van de westerse wereld en krijgt het restje geld dat over is van de populaire bloeddrukverlagers en statines.
En waarom? Alleen omdat de weesgeneesmiddelen niet geboren zijn om het cholesterol te verlagen of het menselijk geslachtsdeel een weekend lang stijf te houden. Dit, terwijl weesgeneesmiddelen wel uitkomst bieden voor patiënten met een levensbedreigende aandoening. Toch krijgen weesgeneesmiddelen geen aandacht en een schamele subsidie, dan rijst opnieuw de vraag of ontwikkeling daadwerkelijk vooruitgang is.

Het is dan ook goed dat de Folia in dit nummer het weesgeneesmiddel in het zonnetje zet. Daarnaast wil ondergetekende hierbij een actie beginnen o.d.z. help het weesgeneesmiddel de winter door. Hierbij kan eenieder geld storten op het rekeningnummer van ondergetekende. Dit zal helpen bij het ontwikkelen van weesgeneesmiddelen en het weesgeneesmiddel minder eenzaam doen voelen.
Een ander goed middel tegen de eenzaamheid is het Stichtse, de Utrechtse farmaceut zit nooit stil en het zal nog lang niet stil zijn na de wonderlijke In Cognito Dies. Maar niet getreurd, er zijn ook in de wintermaanden tal van activiteiten die de U.P.-er warm zal houden. Deze ontwikkeling is wel vooruitgang.

Hopende u op een van de talrijke U.P.-activiteiten in het Stichtse te mogen begroeten,

Met vriendelijke groet,
Johan de Raad
h.t. praeses der U.P.S.V.

AGENDA'S

K.N.P.S.V.

7 t/m 9 december	TWIN in Munster
17 januari	Internationale avond Utrecht
26 januari	Januari AV

PHARMACIAE SACRUM

3 december	Stof- vergadering
4 december	P.S.- borrel
12-14 december	Dies PS
13 december	Almanakonthulling PS
7 januari	Stof- vergadering, EHBO-cursusavond
8 januari	P.S.- borrel
10 januari	ABN Amro Workshopavond
17 januari	EHBO-cursusavond
22 januari	ALV
24 januari	EHBO-cursusavond, EJC- feest
31 januari	EHBO-cursusavond

,,AESCULAPIUS''

11 december - kerst	TDB
18 t/m 21 december	DIES-week
15 januari	DDB
28 januari	Halfjaarlijkse ALV
19 februari	DDB

UNITAS PHARMACEUTICORUM

9 november	CenE cursus
26 november	CenE cursus
27 november	OPG-eerstejaarsexcursie
3 december	Sinterklaasborrel
4 december	CenE cursus
14 december	Postpracticumborrel
19 december	Herenactiviteit
7 janember	Nieuwjaarsborrel
16 januari	S&G nieuwjaarsdiner en EFC feest
19 januari	Ouderdag
4 februari	U.P.-borrel
6 februari	Menage à trois
13 februari	ALV U.P.

ALSOF ALLES OM U DRAAIT

DE VOORDELEN VAN PREFERRED BANKING

Bankieren zoals u dat wilt: dat is Preferred Banking van ABN AMRO. Met unieke voordelen, zoals uw eigen Preferred Banker. Die verdiept zich in uw persoonlijke situatie en stelt samen met u een financieel toekomstplan op. Uw Preferred Banker staat 6 dagen per week voor u klaar; mobiel, per e-mail of persoonlijk. Het lijkt wel alsof letterlijk alles om u draait. U hebt uw eigen Preferred Banker vanaf een netto gezinsinkomen van EUR 5.000,- per maand of een vermogen van EUR 50.000,-. Kijk voor meer informatie op **abnamro.nl/preferredbanking**

Meer mogelijk maken

ABN·AMRO

K.N.P.S.V.-LIED

Wij allen farmaceuten
Door 't zelfde doel vereend
Gaan samen in ons streven
Gaan saam' in lief en leed
Steeds hechter wordt de band toch
Die ons reeds vroeg verbindt
Dank 't schoon vereen'gingsleven
Waar elk zijn steun bij vindt.

Vier universiteiten
Tot een geheel gemaakt
Dat door zo vele krachten
Gewis tot bloei geraakt
Amsterdam, Utrecht, Leiden
En Groningen telt mee
Waar 't geldt de samenstelling
Van de K.N.P.S.V.

Nu zijn wij nog studenten
Van alle zorgen vrij
Vergeten wij de toekomst
En zetten leed opzij
Komt laat ons allen vieren
Ons jaarfeest blij tevree
't Heden van ons allen
De K.N.P.S.V.

D. van Os, 1910

CONTACTADVERTENTIES

LODDER ZOEKT PENVRIENDIN!

IK BEN EEN GOED GEBOUWDE, LICHT DOMINANTE JONGEMAN. IK BEN 22 JAAR EN MISSCHIEN WEL OP ZOEK NAAR JOU!

MIJN HOBBY'S ZIJN ZEILEN, HOCKEY & ROEIEN EN IK BEN BEKEND BIJ MENIG STUDENTEN-VERENIGING.

TEVENS BEN IK SECRETARIS VAN DE FOLIA PHARMACEUTICA, EN AAN ALLEEN NOTULEREN HEB IK NIET GENOEG. DUS BEN JIJ DIE MAKKELIJKE EN MEEGAANDE VROUW, DIE GRAAG BRIEVEN ONTVANGT?! MAIL DAN NAAR FOLIA@KNPSV.NL ONDER VERMELDING VAN BOXNUMMER 315.

SECRETARIEEL VERSLAG SEPTEMBER AV DER KNPSV

GEHOUDEN OP 30 SEPTEMBER 2007 TE PUTTEN

In de September AV zijn voorstellen gedaan om de motie- en besluitenlijst aan te passen. Deze voorstellen zijn goedgekeurd.

De volgende wijzigingen hebben plaatsgevonden:
- *De motie aangaande extra AV is van de lijst gehaald. Deze extra AV heeft plaatsgevonden.*
- *Het besluit aangaande vergoeding reiskosten is hergeformuleerd, zodat deze duidelijker wordt.*
- *Een aantal besluiten zijn van de lijst gehaald, omdat ze niet meer relevant waren:*

Het besluit aangaande reservering EPSA-congres 2007
Het besluit aangaande K.N.P.S.V.-gadget
Het besluit aangaande nieuw erelid
Het besluit aangaande nieuwe camera
Het besluit aangaande nieuwe computer
Het besluit aangaande TWIN commissie
Het besluit aangaande bijdrage RC
Het besluit aangaande de Landelijke Studie Kommissie

Het voorstel, dat gedaan is tijdens de Congres AV te Apeldoorn, om een contract aan te gaan voor het jaarlijks congres der K.N.P.S.V. voor tenminste 3 jaren met Stay Okay Apeldoorn, is niet goedgekeurd. Er kon geen direct financieel voordeel behaald worden en de AV heeft tegengestemd.

Er is een nieuwe K.N.P.S.V.-folder gemaakt. Deze mooie folder is tijdens de introductiekampen uitgedeeld aan de 1e jaars.

Er is een K.N.P.S.Vest ontworpen. Dit vest, donkerblauw met oranje opdruk, kan door iedereen besteld worden bij het bestuur.

De commissaris buitenland vertelt over het IPSF-congres in Taiwan. Ze geeft een korte samenvatting en vertelt dat het een groot succes was. Tevens vertelt ze dat er dit jaar 8 SEP- studenten naar Nederland zijn gekomen. Volgend jaar mag Nederland daarom 12 studenten uitzenden.

De commissaris algemene zaken vertelt dat hij de snuffelstage onderhanden gaat nemen. Hij wil eerst de oude wachtlijst wegwerken. Hij vertelt dat hij eerst snuffelplekken gaat regelen en wanneer dit gebeurd is gaat hij de studenten plaatsen.

Het bestuur heeft kennisgemaakt met een aantal sponsoren en beroepsverenigingen.

De Congrescommissie 'Commando 07' en de Commissie ter Redactie van de Folia Pharmaceutica 2006-2007 hebben afgerekend en zijn gedechargeerd.
Brian Grootendorst is gedechargeerd als lid van de Beroependagcommissie. In zijn plaats is Sjanneke Hovens geïnstalleerd als lid van de Beroependagcommissie.

Tijdens de AV is er een discussie geweest over het wel/niet verzekeren van het K.N.P.S.V. congres. Het bestuur zal tijdens de Januari AV op dit punt terugkomen.

Er is door het bestuur 06-07 een tweetal moties ingediend over de reiskosten van de CAZ en de CB. Er is een discussie geweest over de vergoeding ervan en het moment van boeken. De penningmeester zal samen met de Fico naar deze moties kijken en deze beoordelen op financiële haalbaarheid. Tijdens de Januari AV wordt er teruggekomen op dit punt.

Aldus naar waarheid opgemaakt,
Oktober 2007

Christel Zuidberg
h.t. secretaris

De commissie ter Folia Pharmaceuti

Schokkende onthullingen over de redactieco

JUDITH

Judith is derdejaars en is onze voorzitter. Iedere week probeert zij de vergadering op gang te houden, zonder dat er teveel wordt afgedwaald. Dit houdt meestal in dat ze Jasper en Sven goed in de gaten moeten houden zodat zij niet de gehele tijd aan het tennissen zijn met elkaar op hun mobieltjes. Het komt daarom soms voor dat ze het allemaal niet meer zo ziet zitten, maar gelukkig heeft ze dan steun aan Loddèr, onze zelfbenoemde schaduwvoorzitter. Dientengevolge haalt ze hun beider taken soms zo in de war, dat ze een mailtje beëindigt met Judith Borst, h.t. secretaris Folia Pharmaceutica 2007-2008. Voordat Judith voorzitter van de Folia-commissie werd heeft ze twee jaar geleden in het assessoraat van de illustere commissie farmaceutische wetenschappen 'Sur Sum Scutra'(SSS) gezeten, samen met Martin. Over deze goede oude tijd horen wij elke week wel wat, daarnaast komen wij een hoop te weten over haar vriendje Melroj en haar volleybalteam bij Veracles.

JASPER

VOOR INTIMI LODDER

Jasper, vierdejaars, is onze secretaris en heeft zichzelf tot schaduwvoorzitter benoemd. Zijn taak bestaat uit het notuleren en stuurt deze notulen vervolgens een paar dagen later naar ons toe, zodat iedereen weet welke taken zij moeten verrichten vóór de volgende vergadering. Uiteraard gaat er hier wel eens iets mis. De notulen komen te laat of gewoon helemaal niet en het gebeurt wel eens dat niemand doet wat er van hem/haar verwacht wordt. Naast notuleren op de maandag-avond, speelt hij ook graag een potje tennis met Sven (uiteraard wel via de telefoon). Daarnaast probeert hij ook voor iedere editie weer enkele interessante schrijvers te regelen om een stukje voor ons te schrijven. De jaren voor hij secretaris in de Folia-commissie is geworden, is Jasper druk geweest met de fotocommissie en was hij praeses van de SSS (een jaar later dan Judith en Martin). Hier heeft hij wat mooie contacten aan overgehouden die ons dit jaar van dienst zijn geweest. Jasper zou elke maandagavond wat eerder weg moeten voor zijn hockeytraining, maar tot nu toe is het daar nog nooit van gekomen… Daarnaast is het vermeldenswaardig dat Jasper de enige vrijgezel binnen de commissie is.

Over Jasper is op blz. 8 meer te lezen.

Achter vlnr Judith, Anne, Jasper en Eline

ELINE

Eline is vierdejaars en is onze penningmeester I. Zij probeert de financiën op orde te houden en schrijft mogelijke sponsoren aan. Hiervoor is zij een jaar praeses van de fotocommissie geweest. Eline is de enige van de commissie die geen vlees, vis of gevogelte eet. Gelukkig eet Sven, als zoon van een slager, een dubbele portie vlees, waardoor er toch nog gemiddeld evenveel dieren dood gaan om ons als commissie te voeden. De gehele commissie is zeer creatief in het oplossen van het eiwit- en mineraaltekort waar de gemiddelde vegetarier aan lijdt, u moet hierbij denken aan tofu-gehakt, vegetarische hamburgers, falafel, kaasschitzels en cashewnoten. Eline zit bij het genootschap 'de Boudels', hier beleeft ze bizarre maar hilarische gebeurtenissen, waarmee ze onze commissie vaak aan het lachen weet te maken. Daarnaast hockeyt Eline wel echt (in tegenstelling tot Jasper). Vooral tegen oude vrouwenteams is ze erg fanatiek!

ANNE

Anne is derdejaars en is onze penningmeester II/ Redacteur I. Vorig jaar is Anne druk bezig geweest met de BEC, om een mooie reis naar Barcelona te regelen. Dit jaar zet ze zich in om het

redactie van de
ca 2007-2008

ommissie!

. Op de voorgrond vlnr: Martin en Sven

adressenbestand compleet te maken. Naast af en toe wat postcodeverdraaiingen gaat deze taak haar bijzonder goed af. De afgelopen maand herbergde het huis van Anne een stel illegale Poolse klusjesmannen, die de badkamer eens flink onderhanden namen en daarmee het ons onmogelijk te maken bij haar te vergaderen. Inmiddels zijn zij weer vertrokken en kunnen er weer vergaderingen bij haar worden gehouden. Gelukkig is haar zusje dit jaar ook naar het prachtige Groningen gekomen, bij haar kon Anne de klusjesmannen even ontwijken als het haar teveel werd. In het weekend gaat ze vaak naar thuisthuis, om bij haar vriendje te zijn en om te werken. Verder gaan Anne en Judith meestal als eerst naar huis zodat zij hun geliefde tv-serie nog net kunnen kijken.

MARTIN

Martin is ook derdejaars en is redacteur II. Hij is vooral bezig geweest een mooie basispagina te maken voor het Folia en zal in de toekomst deze lay-out nog gaan perfectioneren zodat elke Folia van onze hand er tip-top in orde uitziet. Martin doet bij de Folia-avonden die bij hem worden gehouden altijd veel moeite een heerlijke zelfgemaakte falafel in zijn mega-frituurpan klaar te maken. Twee jaar geleden heeft hij samen met Judith in het assessoraat van de SSS gezeten en toen scheen Martin iedere keer de commissie zijn befaamde, ofschoon altijd te karig ingeschatte nasi voor te schotelen. Nu er twee jaar zijn verstreken weet Martin hoeveelheden steeds beter in te schatten en lijdt de commissie geen honger meer. Naast commissiewerk als layouten en zijn passie voor koken, is Martin de komende tijd bezig met het assisteren van menig tweedejaars practicum.

SVEN

Sven is tweedejaars en dus de jongste onder ons. Tijdens zijn introductiekamp, PiratenrEIK in 2006 heeft hij alles uit de kast gehaald om een goede eerste indruk op ons te maken. Dit is zeker gelukt, als ware Jack Sparrow-wannabe zag Sven er als een echte woeste piraat uit!

Gelukkig zag Sven het, na een jaar met Loddèr in de SSS gezeten te hebben, ook wel zitten om mee te helpen een fantastisch jaar aan Folia's in elkaar te zetten en vervult hij nu de taak van redacteur III. Sven maakt niet alleen erg mooie fotocollages, maar weet ons elke maandagavond weer te verbazen met een goocheltruc. Ook weet Sven ons elke week te verblijden met leuke verhalen uit zijn jeugd. Meestal begint zijn verhaal als volgt: Vroeger was ik bang voor… Op deze stippellijntjes kan echt alles komen te staan. Zo was Sven vroeger bang voor klappertjespistolen, ballonnen en ook durfde hij het podium niet op om een liedje van Alfred Jodocus Kwak te zingen ondanks de beloningen die zijn opa hem daarvoor in het vooruitzicht stelde. Gelukkig is Sven tegenwoordig iets minder bang, maar het vooruitzicht van een knappende ballon maakt hem nog steeds zenuwachtig.

VERSLAG VAN DE ZIEKENHUISFARMACIEAVOND TE GRONINGEN

ZIEKENHUISFARMACIE AVOND

TEKST: PATRICK DANTUMA

Op donderdag 1 november j.l. vond in Groningen de Ziekenhuisfarmacie avond plaats. Deze avond werd georganiseerd door de Toekomst en OpleidingsPerpectieven (TOP) commissie en heeft tot doel de kennis over de ziekenhuisfarmacie onder studenten te vergroten. De opkomst was met 70 studenten zeer hoog te noemen.

Na een korte introductie door de dagvoorzitter was het woord aan de eerste spreker van de avond, dr. Jos Kosterink. Jos Kosterink studeerde Farmacie aan de Rijksuniversiteit Groningen en na het behalen van het apothekersexamen ging hij vanaf 1987 in opleiding tot ziekenhuisapotheker in het toenmalige AZG, het huidige Universitair Medisch Centrum Groningen (UMCG). Sinds oktober 2001 is hij hoofd van de ziekenhuisapotheek van het UMCG en in 2005 promoveerde hij op het proefschrift getiteld: 'Strategies for specific drug targeting to tumor cells; Radiolabelled monoclonal antibodies from clone to clinic.'

Jos Kosterink begint zijn presentatie met een kort historisch overzicht. Zo vond in 1929 de oprichting van een 'groep ziekenhuisapothekers' binnen de KNMP plaats en in de jaren '90 deden de WGBO en Wet BIG hun intrede. Na het historisch overzicht volgt een profielschets van de ziekenhuisapotheker. De activiteiten van de ziekenhuisapotheker zijn onder te verdelen in de basis (inkoop, lab, bereidingen, logistiek, management) en het gezicht (farmaceutische patiëntenzorg, klinische farmacologie, patiënten informatie). De ziekenhuisapotheker vervult hierin een rol als farmacotherapeutisch consulent, farmaceutisch specialist en farmaceutisch manager. Jos Kosterink vervolgt zijn verhaal met bestaande en nieuwe uitdagingen binnen de ziekenhuisfarmacie. De bereiding van geneesmiddelen die niet in de juiste vorm in de handel zijn, de laboratoriumcontrole van geneesmiddelen, medicatiebeleid en therapiebegeleiding zijn hier een aantal voorbeelden van. Er werd specifiek ingegaan op o.a. geneesmiddeluitgaven in Nederland, het Elektronisch Voorschrijfsysteem (EVS) en onderzoek in de ziekenhuisapotheek van het UMCG.

De tweede spreker van de avond was drs. Matthijs van Luin. Na zijn studie Farmacie aan de Rijksuniversiteit Groningen te hebben afgerond met het predikaat 'cum laude', ging hij vanaf 2005 in opleiding tot ziekenhuisapotheker in Ziekenhuis Rijnstate te Arnhem. Vanaf 2007 wordt de opleiding gecombineerd met een promotie onderzoek in het UMC Sint Radboud te Nijmegen met als onderwerp 'TDM en geneesmiddelinteracties van anti-HIV middelen'. Ook is Matthijs van Luin penningmeester van het VAZA bestuur (Vereniging van Apothekers in opleiding tot ZiekenhuisApotheker).

Matthijs van Luin geeft in zijn presentatie enkele verschillen tussen de ziekenhuisfarmacie en de openbare farmacie aan. In het ziekenhuis is er veel contact met artsen en verpleegkundigen, is er een laboratorium aanwezig en zijn er uitgebreide productie faciliteiten. In de openbare farmacie worden bereidingen veelal elders gedaan, ligt het accent op voorlichting en is er vooral contact met patiënten, assistentes en huisartsen. Ook het begrip projectapotheker komt aan de orde. Vaak is dit de start in een ziekenhuisapotheek om te kijken of jij bevalt en of het werk jou bevalt. De opleiding tot ziekenhuisapotheker bestaat uit oriëntatie in jaar 1, verbreding en verdieping in jaar 2/3 en specialisatie en registratie in jaar 4. Om een goed beeld te krijgen van de dagelijkse werkzaamheden van een ziekenhuisapotheker in opleiding beschrijft Matthijs van Luin een week uit zijn tweede jaar en geeft hij voorbeelden van vragen die door artsen en verpleegkundigen werden gesteld. Tot slot van zijn presentatie vertelt Matthijs van Luin nog iets over de rol van de VAZA.

Na de lezing vond er een borrel plaats in 'De Gouden Zweep'. Een mooie afsluiting van een geslaagde avond.

THE TWIN SEEN THROUGH THE EYES OF A GERMAN PARTICIPANT

TWIN PART ONE - UTRECHT

TEXT: JAN GIERSDORF

Germany and the Netherlands in late october of the year 2007, all pharmacy students prepare for the dull everyday life that awaits everyone when the excitements of the first days of the new studying year have faded away.
All pharmacy students?

No, because a small group of students from Münster as well as some students from the three universities of Utrecht, Groningen and Leiden offer resistence and meet each other in Utrecht for a student exchange, to get to know the people and the cities of their neighbour country.

Our group contained about twentysomething people from different years, some of them being in a student organisation and we were really looking forward to the TWIN.

Due to an irregular schedule of the Dutch trains we arrive an hour late, but the warm welcome of a small committee at the Utrecht Train Station makes us forget that in an instant. We walk to the "Zanzibar", where the Dutch are waiting for us, already having a beer to kill time. Tags are distributed, a short welcome speech is taken, everyone gets to know his host for the weekend and after that everybody is making contact, which is easy in the cosy and friendly atmosphere. A lot of faces, names and beers later we leave to our hosts places.

Next morning everybody gathers at the faculty of pharmacy for the lectures, trying not looking too tired due to lack of sleep. We hear about the changes in the study system that took place in the Netherlands, learn how data collection from the Dutch pharmacies can be used to gain valuable informations and what changes have been made in a new law, concerning pharmacists and customers.

Afterwards we all drive to the city centre and separate in several groups, some going home to change for the evening, others keen to see Utrecht. We are shown the bunny street lights, the "Grachten" with their beautiful cafes and the dom. We even get to know insider stuff, e.g. the stone in which the dom is reflected real nicely, when you drop water on it or the reason why Jochem is not allowed to walk through the tower area. After that we have hot chocolate and bitterballs in a cafe and kill some time playing Scrabble in another one.

Dinner is served in a huge Irish Pub. It surely isn`t easy to organize that everyone gets the meal he wants - we are talking about 60 people here - but everything went perfect just as the organisation of the whole TWIN.

The rest of that night we spend in "The Beurs", first chatting, then dancing. The party is real awesome with everyone mixing on the dancefloor, people going crazy all over the place, enjoying to shake their bodies and sing out loud the songs.

Watse shows his "I-can-suck-glasses-with-different-parts-of-my-face" trick, for which he is famous, now even beyond the borders of Groningen.

On Sunday we have a laidback boattrip in the "Grachten", tasty pancakes "Dutch Style" and a guided tour in the tower of the dome, which includes some fantastic views over the city as well as a many steep and narrow stairs.

Sadly that is also the (worthy) final of the weekend and together with the students from Groningen and Leiden we catch a train back home.

I think, I can speak for all visitors from Münster when I say, that I really enjoyed the days in Utrecht and learned a lot about the city and differences and similarities between pharmacy in Germany and in the Netherlands. The program was great and so were the people. We shared many laughs and everyone is looking forward to december, when again a normal weekend will be turned into something very special!

See You in Münster!

Ontwikkeling van w

Een prioriteit voor Nederland

De afgelopen eeuw heeft de wetenschap een grote stap voorwaarts gemaakt, waardoor onder meer geneesmiddelen beschikbaar zijn gekomen voor vele aandoeningen, waaronder de meeste veel voorkomende ziekten in de westerse wereld. De geneesmiddelen-industrie is inmiddels een miljardenindustrie, die wereldwijd werkgelegenheid biedt aan duizenden mensen. Heden ten dage is de ontwikkeling van geneesmiddelen een erg kostbaar en risicovol proces.

TEKST: DRS. HARALD E. HIEMSTRA

Geschat wordt dat van elke tien geneesmiddelen die getest worden op mensen, er uiteindelijk slechts één op de markt beschikbaar komt. Bovendien kunnen de kosten van het hele ontwikkelingstraject van ge-neesmiddelen wel oplopen tot circa 800 miljoen US Dollar. Hierbij zijn ook de kosten inbegrepen van de geneesmiddelen die een deel van het ontwikke-lingstraject doormaken, maar uiteindelijk niet verder ontwikkeld worden om diverse redenen. Het is dus erg belang-rijk voor fabrikanten om deze kosten zo snel mogelijk terug te verdienen op geneesmiddelen die worden toegelaten tot de markt. Dat is de reden dat veel fabrikanten van geneesmiddelen de afgelopen jaren vooral hebben gepro-beerd om producten op de markt te brengen voor grote groepen patiënten in de westerse wereld. Door te focussen op deze groepen, waren ze zeker van goede afzetmogelijkheden en werden ontwikkelingskosten relatief gemakkelijk terugverdiend. Echter, er zijn ook heel veel zeldzame ziekten en ziekten die voorkomen bij patiënten in minder welvarende gebieden van de wereld. Voor patiënten met dit soort ziekten is de ont-wikkeling van geneesmiddelen minder snel gegaan en vele ziekten zijn daarom nog steeds niet behandelbaar. In de Verenigde Staten (VS) ontstond lande-lijke belangstelling voor het probleem van de beschikbaarheid van genees-middelen voor zeldzame ziekten in 1980, toen congreslid Henry Waxman zich inspande voor een patiënt die leed aan het zeldzame Tourette syndroom. Hij vergeleek het niet beschikbaar zijn van geneesmiddelen voor deze ziekten met kinderen die geen ouders hebben, en aldus werd de naam weesgenees-middel ('orphan drug' of 'orphan medicinal product') geboren.

Alhoewel weesgeneesmiddelen bestemd zijn voor patiënten met zeldzame ziekten, is de problematiek van zeldzame ziekten allerminst zeldzaam. Volgens schattingen van de World Health Organization (WHO) zijn er op dit moment tussen de 5000 en 8000 zeldzame ziekten bekend en iedere maand worden er circa 5-6 nieuwe zeldzame aandoeningen ontdekt of beschreven in de literatuur. Dit gebeurt doordat artsen bijvoorbeeld een combinatie van symptomen toeschrijven aan een nieuwe ziekte, maar kan ook veroorzaakt worden door het genetisch opsplitsen van een meer prevalente aandoening in verschillende zeldzame aandoeningen ('salami-slicing'). Doordat er zoveel verschillende zeldzame aandoeningen bekend zijn, wordt geschat dat tussen de 3 en de 8% van de bevolking aan een zeldzame aandoening lijdt. Dit komt neer op 15 tot 40 miljoen mensen in de Europese Unie (EU). Vanuit het oogpunt van de publieke gezondheidszorg is het dus erg belangrijk dat er ook voor deze groepen patiënten adequate geneesmiddelen beschikbaar komen [1].

Europese stimuleringsmaatregelen

In de VS is daarom in 1983 de US Orphan Drug Act aangenomen. Deze wet voorziet in stimuleringsmaatregelen voor bedrijven of instituten die een geneesmiddel ontwikkelen voor patiënten met een zeldzame aandoening. Een zeldzame aandoening is hierbij gedefinieerd als een aandoening die bij minder dan 200.000 inwoners in de VS voorkomt. De voornaamste stimuleringsmaatregel is een onvoorwaardelijke marktexclusiviteit van 7 jaar. Bovendien worden kortingen verleend op de registratiekosten bij de FDA en voor het verkrijgen van wetenschappelijk advies voor het opstellen van studie protocollen. Bovendien hebben bedrijven recht

veesgneesmiddelen:

en Europa!

op 50% belastingvoordeel bij het uitvoeren van deze klinische studies. Ook is er een aparte afdeling binnen de FDA, de 'Office of Orphan Product Development' (OOPD), die ondermeer kleine subsidies beschikbaar stelt voor het uitvoeren van klinische studies. Al deze initiatieven moeten er toe bijdragen dat bedrijven worden gestimuleerd om onderzoek dat mogelijk tot een therapie voor een patiënt met een zeldzame ziekte kan leiden, ook daadwerkelijk om te zetten in de ontwikkeling van een weesgeneesmiddel.

De US Orphan Drug Act was zo succesvol dat het concept door vele landen is overgenomen, waaronder Japan (1993) en Australië (1998). In 2002 waren er in de VS al bijna 1100 middelen benoemd als potentieel weesgeneesmiddel, en daarvan waren er al 231 toegelaten tot de markt. Hierdoor hadden 11 miljoen Amerikaanse patiënten, voor wie eerst geen geneesmiddel beschikbaar was, een mogelijkheid voor een behandeling van hun aandoening [2].

De Europese Unie (EU) volgde in 2000 met de Europese Verordening Weesgeneesmiddelen. Alhoewel deze regeling vergelijkbaar is met de Amerikaanse Orphan Drug Act, verschillen enkele belangrijke details. Zeldzame ziekten zijn in Europa alleen zeldzaam als deze levensbedreigend of chronisch invaliderend zijn en een prevalentie hebben van minder dan 5 patiënten op de 10.000 inwoners. Sponsors van een middel dat gericht is op de behandeling, maar ook op preventie of diagnose van een zeldzame ziekte kunnen aanspraak maken op verschillende stimuleringsmaatregelen. Zij moeten hun product dan tijdens de ontwikkelingsfase aanmelden bij de 'Commission on Orphan Medicinal Products' en aantonen dat het middel voldoet aan de criteria van een zeldzame aandoening. Bovendien moet er nog geen adequaat middel voor deze aandoening op de markt zijn, of moet het middel significante verbetering kunnen brengen voor patiënten met deze aandoening. Indien de COMP oordeelt dat het middel aan deze voorwaarden voldoet, wordt een 'orphan designation' afgegeven, een aanduiding dat het product een potentieel weesgeneesmiddel is. Hierna kunnen producenten van deze middelen aanspraak maken op wetenschappelijk advies tijdens het resterende ontwikkelingstraject en krijgen ze korting op de kosten van de registratieprocedure. Bovendien hebben deze middelen toegang tot de centrale Europese registratieprocedure via de 'Commission on Human Medicinal Products' (CHMP, zie figuur 1). Als een middel uiteindelijk geregistreerd wordt heeft het recht op tien jaar voorwaardelijke marktexclusiviteit. Deze exclusiviteit kan worden ingetrokken na 6 jaar, als na 5 jaar blijkt dat het middel voldoende winstgevend is. Hierover is momenteel echter veel onduidelijkheid, aangezien het criterium winstgevendheid niet nauwkeurig is vastgelegd. Sinds de introductie van de Verordening Weesgeneesmiddelen in april 2000 hebben tot oktober 2007 inmiddels 500 producten de status van potentiële weesgeneesmiddel gekregen. Hiervan zijn er 44 toegelaten tot de markt ('market authorization', zie Box 1). Naast deze Europese stimuleringsmaatregelen wordt ieder land aangespoord zijn eigen nationale maatregelen te treffen om onderzoek en ontwikkeling van weesgeneesmiddelen te stimuleren en deze beschikbaar te maken aan patiënten [3].

De Stuurgroep Weesgeneesmiddelen

In Nederland is een van de belangrijkste nationale stimuleringsmaatregelen het instellen van de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen. Deze stuurgroep bestaat uit vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties, farmaceutische industrie, verzekeraars, wetenschappers, artsen en overheidsorganisaties. Haar

BOX 1. ENKELE VOORBEELDEN VAN GEREGISTREERDE EUROPESE WEESGENEESMIDDELEN

- MYOZYME (ALGLUCOSIDASE ALFA) VOOR DE BEHANDELING VAN DE ZIEKTE VAN POMPE

- PEDEA (IBUPROFEN I.V.) VOOR SLUITING VAN EEN OPEN DUCTUS ARTE RIOSUS (DUCTUS BOTALLI) BIJ PREMATURE NEONATEN

- REVATIO (SILDENAFIL CITRAAT) VOOR DE BEHANDELING VAN PULMONALE ARTERIELE HYPERTENSIE;

- INOVELON (RUFINAMIDE) VOOR DE BEHANDELING VAN LENNOX-GASTAUT SYNDROOM.

DE LIJST MET POTENTIELE EN GEREGISTREERDE EUROPESE WEESGENEESMIDDELEN IS TE VINDEN OP HTTP://EC.EUROPA.EU/ENTERPRISE/PHARMACEUTICALS/REGISTER/ORPHREG.HTM.
NEDERLANDSTALIGE INFORMATIE OVER DE EIGENSCHAPPEN VAN DE GEREGISTREERDE WEESGENEESMIDDELEN IS TE VINDEN OP HTTP://WWW.FARMANCO.KNMP.NL/WEESGENEESMIDDELEN

voornaamste taak is het stimuleren >> van de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen en het verbeteren van de situatie van patiënten met een zeldzame ziekte, in het bijzonder het verbeteren van de informatievoorziening over zeldzame ziekten. Dit laatste is belangrijk omdat veel patiënten met een zeldzame aandoening vaak jarenlang van de ene naar de andere arts worden doorgestuurd, voordat uiteindelijk een diagnose kan worden gesteld. Resultaten van recent onderzoek lieten zien dat 25% van de patiënten met een zeldzame aandoening vijf jaar of langer heeft moeten wachten op een diagnose (Eurordis, Epposi workshop, 18-19 Oktober 2007). Hier blijkt dus dat patiënten met zeldzame ziekten met veel meer problemen te maken hebben dan alleen het feit dat er geen geneesmiddelen bestaan voor hun ziekte. De Stuurgroep Weesgeneesmiddelen komt regelmatig bij elkaar, en bespreekt daar knelpunten in zorg en behandeling voor deze groep van patiënten. Ook functioneert ze als vraagbaak voor patiënten of anderen met vragen over zeldzame aandoeningen en weesgeneesmiddelen en geeft informatieve brochures uit. Meer informatie is te vinden op www.weesgeneesmiddelen.nl. Om de situatie rondom de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen in Nederland verder te stimuleren, zijn er sinds twee jaar een tweetal onderzoekers aangesteld, waaronder de auteur van dit stuk.

Onderzoek naar weesgeneesmiddelen in Nederland

Nederland staat internationaal bekend als een land met uitstekend medisch wetenschappelijk onderzoek en kan zich daarbij meten met landen als de VS en Zwitserland. In tegenstelling tot deze landen, worden er in Nederland echter nauwelijks (wees)geneesmiddelen ontwikkeld. Het is zelfs zo dat van de 500 potentiële weesgeneesmiddelen slechts zes in Nederland zijn ontwikkeld en hiervan nog geen één een marktautorisatie heeft verkregen. Deze paradoxale situatie staat centraal in ons onderzoek naar de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen in Nederland. In een inventarisatie van al het onderzoek aan zeldzame ziekten dat gefinancierd werd vanuit de Nederlandse Organisatie voor Gezondheids- onderzoek en Zorginnovatie (ZonMw), bleek dat financiering vooral gericht was op het stimuleren van fundamenteel onderzoek. Tevens bleek dat onderzoek naar zeldzame aandoeningen evenveel kans had op toekenning van de financiering als onderzoek naar andere aandoeningen. Zeldzame aandoeningen worden dus niet 'gediscrimineerd' waar het gaat om financiering van onderzoek, alleen is het type onderzoek heel erg gefocust op fundamenteel onderzoek. Het is mogelijk dat hierdoor vooral basaal onderzoek aan zeldzame ziekten wordt gefinancierd, terwijl onderzoek dat als doel heeft om therapieën te ontwikkelen hierdoor minder aan bod komt. Dit zou het relatief kleine aantal Nederlandse weesgeneesmiddelen kunnen verklaren.

Dit is de reden dat in opdracht van het ministerie van VWS, dit voorjaar een voorstel is opgesteld voor een onderzoeksprogramma dat specifiek gericht is op zeldzame ziekten en weesgeneesmiddelen. Centraal in dit programma staat het financieren van excellente Nederlandse onderzoeksgroepen, in samenwerking met patiënten en industrie, teneinde het goede Nederlandse biomedische onderzoek om te kunnen zetten in de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen. Alhoewel het op dit moment nog niet zeker is of dit voorstel ook daadwerkelijk zal worden gehonoreerd, zal dit kunnen betekenen dat het Nederlandse onderzoek naar weesgeneesmiddelen de komende jaren enorm gestimuleerd wordt.

De toekomst

De Amerikaanse weesgeneesmiddelen wetgeving heeft niet alleen een grote bijdrage geleverd aan het beschikbaar maken van weesgeneesmiddelen voor patiënten met een zeldzame aandoening, maar is volgens velen ook de reden van de opkomst van de medische biotechnologische bedrijven in Amerika en hun leidende rol in de wereld [4]. Veel van de Amerikaanse weesgeneesmiddelen zijn ook op de Europese markt geïntroduceerd, al dan niet als Europees weesgeneesmiddel. De rol die deze regelgeving heeft gespeeld is dus erg groot, tot op de dag van vandaag. De Europese Verordening weesgeneesmiddelen is in vergelijking met de VS nog jong. Toch is nu al duidelijk dat deze regelgeving ook in Europa zijn vruchten afwerpt. Na een rustige aanloopperiode worden nu steeds meer potentiële weesgeneesmiddelen geregistreerd, waardoor deze ook daadwerkelijk beschikbaar komen voor patiënten. Tijdens een recent gehouden conferentie over weesgeneesmiddelen en zeldzame ziekten (Epposi workshop, 18-19 Oktober 2007, Kopenhagen), bleek dat er bovendien een grote bereidheid bestaat tussen wetenschapspers, patiënten en industrie om samen te werken aan meer en betere behandelingsmethoden. Hier bleek echter ook dat de soms zeer hoge kosten van weesgeneesmiddelen steeds meer een obstakel zijn voor de vergoeding en daarmee de beschikbaarheid van deze geneesmiddelen voor patiënten. Bovendien is het moeilijk om deze kosten te berekenen op een manier die recht doet aan de ernst van de aandoening. De vraag hoe de samenleving om moet gaan met deze kosten wordt daarmee steeds actueler. Onderzoek naar de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen, maar ook naar methodes om vergoeding en prijzen te bepalen, blijven daardoor van het grootste belang om er voor te zorgen dat er voor de grote groepen patiënten met zeldzame aandoeningen geneesmiddelen beschikbaar komen. ❙❙

"Het is zelfs zo dat van de 500 potentiële weesgeneesmiddelen slechts zes in Nederland zijn ontwikkeld en hiervan nog geen één een marktautorisatie heeft verkregen."

Referenties

1. Stolk, P, Willemen, MJC, Leufkens, HGM (2006) Rare essentials: drugs for rare diseases as Essential Medicines. Bull World Health Organ 84: 745-51

2. Haffner, ME, Whitley, J, Moses, M (2002) Two decades of orphan product development. Nat Rev Drug Discov 1: 821-5

3. Dear, JW, Lilitkarntakul, P, Webb, DJ (2006) Are rare diseases still orphans or happily adopted? The challenges of developing and using orphan medicinal products. Br J Clin Pharmacol 62: 264-71

4. Haffner ME, Maher PD (2006) The impact of the orphan drug act on drug discovery. Expert Opin Drug Discov 1: 521-4

Pharming verkrijgt weesgeneesmiddel-status voor recombinant fibrinogeen van FDA

FARMACEUTISCHE ONTWIKKELING GESTART VOOR AANDOENINGEN VEROORZAAKT DOOR FIBRINOGEEN-DEFICIENTIE

Biotechbedrijf Pharming Group N.V. ("Pharming" of "het bedrijf") heeft vandaag bekend gemaakt dat het van de Amerikaanse Food and Drug Administration (FDA) een weesgeneesmiddel-status heeft verkregen voor recombinant humaan fibrinogeen (rHFIB) voor de behandeling van bloedingen in patiënten die een tekort hebben aan fibrinogeen (fibrinogeen-deficiëntie). Pharming is gestart met de ontwikkeling van recombinant humaan fibrinogeen als een farmaceutisch produkt voor erfelijke en niet-erfelijke deficiënties middels deze status en zal de ontwikkeling van het produkt als een 'medical device' voortzetten door middel van partnerships.

TEKST: PERSBERICHT PHARMING

Recombinant humaan fibrinogeen zal worden ontwikkeld als een vervangingstherapie om bloedingen te behandelen in patiënten die lijden aan een tekort aan fibrinogeen. Fibrinogeen is een zeer belangrijk eiwit dat een rol speelt bij het stollen van bloed. Een tekort aan fibrinogeen kan derhalve leiden tot ongecontroleerde en moeilijk te stoppen bloedingen. Bloedingen als gevolg van tekorten aan fibrinogeen kunnen zich in tal van klinische omstandigheden voordoen zoals bij grote verwondingen, operaties, leverziekten, sepsis en kanker.

In de Verenigde Staten zijn er ongeveer 100.000 patiënten per jaar die een bloeding hebben als gevolg van een tekort aan fibrinogeen. Toediening van fibrinogeen aan deze patiënten kan de normale processen die bloedverlies voorkomen (hemostase) herstellen. De huidige therapie in de USA voor deze patiënten is de toediening van onzuivere humane bloed-producten zoals een zogenaamd cryoprecipitaat dat voornamelijk bestaat uit fibrinogeen. In Europa wordt veelal fibrinogeen gezuiverd uit menselijk bloed gebruikt om dergelijke bloedingen te behandelen.

Dr. Francis Pinto, Chief Executive Officer van Pharming, gaf als commentaar: "Pharming's strategie voor de ontwikkeling van rhFIB zal voortborduren op het succesvolle model van recombinante bloedstollings-eiwitten die momenteel al gebruikt worden om bloedverlies te controleren bij diverse erfelijke en niet-erfelijke aandoeningen. Nu Rhucin® dichtbij haar eerste registratie is, vertegenwoordigt rhFIB een nieuwe weg voor verdere groei van Pharming en demonstreert onze sterkte in het ontwikkelen van therapeutische recombinante eiwitten in gebieden waar niet-vervulde medische behoeften bestaan."

Naast de bescherming die wordt geboden door de weesgeneesmiddel-status heeft Pharming een portfolio van patenten die de transgene productie en de zuivering van diverse eiwitten (waaronder recombinant humaan fibrionogeen) dekken. Als gevolg hiervan heeft Pharming een sterke positie op het gebied van intellectuele eigendommen die haar een brede bescherming biedt voor de ontwikkeling en het gebruik van rhFIB voor farmaceutische en 'medical device'-toepassingen.

Achtergrond informatie over de weesgeneesmiddel-status en recombinant humaan fibrionogeen de weesgeneesmiddel-status toegekend door de FDA is bedoeld voor veelbelovende nieuwe therapieën waaraan minder dan 200.000 mensen in de USA leiden. De status voorziet in een versneld registratie proces, bepaalde ficale voordelen en een exclusiviteits-periode van zeven jaar na goedkeuring van het produkt in de USA.

Pharming ontwikkelt rhFIB als een farmaceutisch product voor erfelijke en niet-erfelijke deficiënties van fibrinogeen. De bestaande markt in de Westerse wereld voor de behandeling van deze aandoeningen wordt geschat op meer dan USD 500 miljoen. De huidige standaard behandeling in de USA is toediening van cryoprecipitaat, hetgeen een onzuiver product is gewonnen uit menselijk bloed en grotendeels bestaand uit fibrinogeen. In sommige landen in Europa is een gezuiverd fibrinogeen product (afkomstig uit menselijk bloed) op de markt. Nu Pharming zich gaat richten op de farmaceutische ontwikkeling voor rhFIB zal de ontwikkeling voor gebruik in 'medical devices' worden voortgezet middels samenwerkingen met partijen die actief zijn in deze markt om op die manier verdere waarde voor dit onderdeel van het bedrijf te genereren.

Gedurende de laatste jaren heeft Pharming een programma ontwikkeld op het gebied van biomaterialen via samenwerkingen met het BioMedical Materials consortium (BMM), Novathera Ltd. en andere instellingen en instituten. Pharming heeft op succesvolle wijze hoge niveaus rhFIB geproduceerd via haar productie technologie. In labtesten en in de eerste dierstudies is aangetoond dat rhFIB vrijwel identiek is qua structuur en functie aan fibrinogeen uit menselijk bloed. Pharming heeft al aan diverse bedrijven en instellingen rhFIB ter beschikking gesteld om op die manier het mogelijk te maken nieuwe toepassingen en mogelijkheden voor dit product te ontwikkelen.

Nieuwe uitdagingen voor de farmaco-econo

Vergoeding van We

Net als vele andere nieuwe ziekenhuisgeneesmiddelen, zijn nieuwe weesgeneesmiddelen vaak relatief duur. Voor dergelijke "dure geneesmiddelen" is momenteel veel aandacht. Het betreft soms biotechnologische geneesmiddelen, zoals monoklonale antilichamen. Tot voor kort drukte de geneesmiddelvoorziening bij dergelijke middelen volledig op de ziekenhuisbudgetten, en was het zeer wel mogelijk dat geneesmiddelverstrekking per ziekenhuis verschilde, al naar gelang de budgettaire situatie. Dit werd wel als "postcodegeneeskunde" aangeduid. Trastizumab (Herceptin) bij bortskanker is nog steeds het bekendste voorbeeld van die postcodegeneeskunde: het percentage patiënten met bortskanker dat Herceptin ontving was geheel anders in bijvoorbeeld Zeeland dan in Friesland. Individuele ziekenhuizen beheren hun eigen geneesmiddelbudgetten en stellen hun eigen prioriteiten, ook ten aanzien van dure geneesmiddelen. Je zou dus kunnen zeggen dat financiële overwegingen soms de beste ziekenhuiszorg in de weg stonden.

TEKST: PROF. DR. MAARTEN J. POSTMA & DRS. RENE VAN HULST

Om dergelijke belemmeringen voor ziekenhuizen weg te nemen voor toepassing van noodzakelijke dure geneesmiddelen is een geoormerkte financieringsbron in het leven geroepen. Dit heeft vorm gekregen in 2 beleidsregels per 1 januari 2006: de beleidsregel "Dure Geneesmiddelen in Ziekenhuizen" en de beleidsregel "Weesgeneesmiddelen in de Aca-demische Ziekenhuizen". Deze beleids-regels voorzien in vergoeding voor de ziekenhuizen wat betreft 80% van de kosten van dure geneesmiddelen en 95% voor de weesgeneesmiddelen. Be-treffende (wees)geneesmiddelen moeten wel expliciet op de lijst "Dure Genees-middelen" vermeld worden om voor die vergoeding in aanmerking te komen.

In het kader van de expliciete beleidsregels is de extra eis van farmaco-economisch onderzoek bij vermelding op de lijst toegevoegd. Alvorens deze eis van kracht werd, zijn vanaf 2002 al diverse middelen op de lijst geplaatst, zoals bijvoorbeeld Irinotecan, Trastuzumab en Rituximab, allemaal zonder expliciete beschouwing van de farmacoeconomie. Bij meer recente beoordelingen is de farmaco-economie expliciet betrokken, zoals bijvoorbeeld bij Infliximab (bij artritis psoritica), Bortezomib (Velcade; bij de ziekte van Kahler) en Bevacizumab (Avastin). Veelal komen deze middelen op de lijst op verzoek van de Nederlandse Vereniging van Ziekenhuizen (NVZ). De Commissie Farmaceutische Hulp (CFH) adviseert over de therapeutische waarde van de geneesmiddelen die in aanmerking komen voor plaatsing op de lijst dure middelen, inclusief de farmaco-economische aspecten en inclusief de weesgeneesmiddelen.

"Je zou dus kunnen zeggen dat financiële overwegingen soms de beste ziekenhuiszorg in de weg stonden."

In principe komen alleen weesgeneesmiddelen in aanmerking voor de lijst indien ze op Europees niveau als weesgeneesmiddel zijn aangemerkt. Omdat het de behandeling van zeldzame ziekten gaat is de medische know-how voor de behandeling niet overal voorhanden. De behandeling met een specifiek weesgeneesmiddel is daarom veelal beperkt tot 1 - soms 2 - meestal universitaire centra.
De farmaco-economische aspecten van de beleidsregels betreffen diverse vragen, die nu elk aan de orde zullen komen. Wat is een duur geneesmiddel? Is te verwachten dat het middel kosten-effectief is? Met welk onderzoek kan straks definitief aangetoond worden dat het middel inderdaad kosten-effectief is? Dit zal zo nu en dan geïllustreerd met

eesgeneesmiddelen

Prof. Dr. Maarten J. Postma

agalsidase, een weesgeneesmiddel voor de ziekte van Fabry. De behandeling van deze patiënten met agalsidase alfa en beta betreft een specifieke enzym-therapie die grofweg €50-100.000 per patiënt per jaar kost.

Terwijl voor de dure ziekenhuisgeneesmiddelen een criterium geldt van 0,5% van de macro-uitgaven aan ziekenhuisgeneesmiddelen, wordt voor weesgeneesmiddelen het criterium voor "duur" gedefinieerd aan de hand van de uitgaven voor geneesmiddelen in het specifieke behandelcentrum. In het bijzonder, is het zo dat een weesgeneesmiddel het predikaat "duur" krijgt indien te verwachten is dat de toekomstige kosten ervoor minstens 5% bedragen van de geneesmiddeluitgaven. Zo werd bijvoorbeeld voor agalsidase een uitgavenniveau geschat van circa 3.2 miljoen per jaar, voor maximaal 50 patiënten (www.cvz.nl). Je kunt dus stellen dat er een bonus staat op een hoge prijs: des te hoger de prijs des te hoger de kans om boven die 5% uit te komen en op de lijst voor vergoeding terecht te komen. Dat is mogelijk één van de gevaren van de regelingen "dure geneesmiddelen".

Farmaco-economie of kosten-effectiviteit komt in de huidige procedure twee keer om de hoek kijken. Allereerst moet de indicatie uitgewerkt worden dat het nieuwe weesgeneesmiddelen potentieel een gunstige kosten-effectiviteit heeft, op basis waarvan het middel vooralsnog op de lijst geplaatsts wordt en dus grotendeels vergoed wordt. Dit mag aan de hand van nog niet volledig uitgewerkt onderzoek. >>

RECENTELIJK ZIJN DE VOLGENDE WEESGENEESMIDDELEN OP DE LIJST DURE GENEESMIDDELEN GEPLAATST:

- ALGLUCOSIDASE (MYOZYME; INDICATIE ZIEKTE VAN POMPE)
- GALSULFASE (MAGLAZYME; INDICATIE SYNDROOM VAN MAROTEAUX-LAMY / MUCOPOLYSACCHARIDOSE VI)
- IDURSULFASE (ELAPRASE; INDICATIE SYNDROOM VAN HUNTER / MUCOPOLYSACCHARIDOSE II)
- AGALSIDASE (ALFA: REPLAGAL; BETA: FABRAZYME; INDICATIE: ZIEKTE VAN FABRY).

Drs. Rene van Hulst

Bij agalsidase werd in dat verband bijvoorbeeld naar een aantal buitenlandse studies verwezen (www.cvz.nl). Allicht zijn farmaco-economische studies voor andere landen maar eer beperkt voorspellend voor de Nederlandse situatie. Het is dan ook nodig en vereist dat in de komende 3 jaren voor agalsidase doelmatigheidsonderzoek wordt opgezet en uitgevoerd, waaruit een goed onderbouwde farmaco-economische analyse naar voren komet. ZON/MW heeft daarvoor subsidies beschikbaar gesteld (www.zonmw.nl). Het is dan na 3 jaren - op basis van goed onderbouwde analyses - te bezien in hoeverre agalsidase als doelmatige farmacotherapie kan worden opgevat. Vaak betreft dit onderzoek naar kosten, overleving en kwaliteit van leven in de praktijk. Het laatste met name om ook goed beeld te krijgen van Quality Adjusted Life Years (QALYs).

Wanneer zullen we nu uiteindelijk een uitkomst beschouwen als een gunstige kosten-effectiviteit. Heel lang hebben we in Nederland vooral daarvoor het afkappunt van €20.000 per gewonnen QALY gehanteerd, geerfd uit de 90'er jaren, gerelateerd aan de discussies over wie-wel-en-wie-niet met statines behandeld zou moeten worden. Dit afkappunt is laag in internationaal verband: Herceptin in Belgie werd gelegd naast een afkappunt van €50.000 euro (www.kce.be) en in Engeland wordt £30.000 gehanteerd ook binnen de zgn. "rapid assessments" voor dure intramurale (meestal oncologische) middelen (www.nice.uk). Er is momenteel discussie om die €20.000 per QALY op te hogen, met name ook voor de "dure geneesmiddelen".

"Je kunt dus stellen dat er een bonus staat op een hoge prijs: des te hoger de prijs des te hoger de kans om boven die 5% uit te komen en op de lijst voor vergoeding terecht te komen."

We kunnen concluderen dat er een nieuwe periode voor de intramurale geneesmiddelen is gestart, waarin ook farmaco-economische beoordeling een rol speelt. Het is voor patiënten een goede zaak dat voor dergelijke middelen nu een heldere vergoedingsstructuur ontstaat, hetgeen toegankelijkheid tot dergelijke therapieëen vast verbeterd. Wel is de vergoeding vooralsnog voor "slechts" 3 jaar geregeld, waarna doelmatigheid op basis van goed onderzoek in de praktijk moet blijken. Hoe dergelijk onderzoek naar kosten en QALYs nu eigenlijk opgezet en uitgevoerd moet worden is één van de grote uitdagingen voor de farmaco-economie in Nederland in de komende jaren.

Prof M.J. Postma, leerstoel farmaco-economie
M. van Hulst, ziekenhuisapotheker

Auteurs zijn beide verbonden aan het Universitair Centrum Farmacie van de Rijksuniversiteit Groningen en aan het Universitair Medisch Centrum Groningen (Maarten J. Postma) en Martini Ziekenhuis Groningen (M. van Hulst)

Referenties

1. College voor Zorgverzekeringen. Procedure beoordeling intramurale geneesmiddelen. Diemen: CVZ 2006.