

SCHRIFTELIJKE VRAAG

nr. 6

van **FREYA VAN DEN BOSSCHE**

datum: 10 oktober 2019

aan **WOUTER BEKE**

VLAAMS MINISTER VAN WELZIJN, VOLKSGEZONDHEID, GEZIN EN ARMOEDEBESTRIJDING

Spinale musculaire atrofie (SMA) - Screening

Hoeveel Vlaamse kinderen met de zeer ernstige spierziekte SMA hadden eerder geholpen kunnen worden? Deze vraag dringt zich op nu blijkt dat Vlaanderen, in tegenstelling tot Wallonië, besliste om niet in een drie jaar durend screeningsproject te stappen. Patiënten met type 1 die lijden aan spinale musculaire atrofie of SMA, worden zonder behandeling niet ouder dan achttien maanden. In Wallonië loopt sinds maart 2018 een proefproject rond SMA-screening. 37.000 kinderen zijn daardoor gescreend op de spierziekte. Zes gevallen zijn sindsdien aan het licht gekomen.

Het Waalse project is een initiatief van professor Laurent Servais van het Luikse Centre Hospitalier Universitaire. Hij kon de Waalse overheid overtuigen enkele tienduizenden euro's in een SMA-screening te investeren. Servais probeerde Vlaanderen te betrekken in het screeningsproject, dat tot maart 2021 loopt. De Vlaamse overheid kon volgens Servais nagenoeg gratis deelnemen. Toch kwam er geen gezamenlijk project. Nochtans kan zo'n screening een groot verschil maken voor patiënten. Volgens experts wordt de diagnose van SMA het best zo vroeg mogelijk vastgesteld, het liefst voor de symptomen zich laten opmerken. Zo kan een behandeling meteen starten en kan de uitval worden beperkt.

1. Wat zijn de beweegredenen van de minister om niet in de SMA-screening te stappen?
2. Is de minister van plan om SMA alsnog op te nemen in de beheersovereenkomsten tussen de Vlaamse overheid en de Vlaamse centra die vandaag betrokken zijn bij de neonatale screening?
3. Welke screeningsprogramma's zitten er nog in de pijplijn? Op welke termijn?

ANTWOORD

op vraag nr. 6 van 10 oktober 2019

van **FREYA VAN DEN BOSSCHE**

1. Het budget voor preventieve gezondheidszorg noodzaakt ons om op een objectieve en transparante manier het maatschappelijk belang voorop te zetten bij het nemen van beleidsbeslissingen.

Dat betekent echter niet dat de situatie van Pia en haar ouders en van alle andere kindjes en ouders die zich in een vergelijkbare situatie bevinden, of het nu gaat over SMA, SCID of een andere zeldzame ziekten, de Vlaamse overheid onbewogen laat.

Er zijn veel zeldzame aandoeningen waarnaar momenteel (nog) niet gescreend wordt binnen het Vlaamse bevolkingsonderzoek Aangeboren aandoeningen. Een deel daarvan zouden – technisch gezien – binnen het bevolkingsonderzoek Aangeboren aandoeningen (de 'neonatale screening') opgespoord kunnen worden. Door snelle wetenschappelijke evoluties, o.a. binnen de genetica, nemen die mogelijkheden gestaag en snel toe.

Het feit dat het technisch mogelijk is om een aandoening op te sporen, wil echter niet betekenen dat het daarom zinvol is om alle pasgeborenen daarop te gaan screenen. Zinvol betekent dat de balans van voor- en nadelen van het screeningsaanbod voor de hele doelgroep, dus niet alleen voor de opgespoorde gevallen, positief moet zijn. Dit principe is de leidraad voor het Vlaams beleid inzake bevolkingsonderzoek (zie ook www.bevolkingsonderzoek.be).

De voor- en nadelen van bevolkingsonderzoek worden geëvalueerd op vlak van wetenschappelijke evidentie, maatschappelijke aanvaardbaarheid en doelmatigheid. De Vlaamse werkgroep Bevolkingsonderzoek, een groep onafhankelijke deskundigen (clinici, ethicus, gezondheids-economie, epidemiologie, standpunt consument/burgers) adviseert de minister hierover op basis van vaste criteria die zijn opgenomen in de regelgeving.

Als de balans tussen voor- en nadelen positief blijkt, impliceert het organiseren ervan een mogelijke gezondheidswinst op populatieniveau, op voorwaarde dat de kwaliteit over de hele keten van het bevolkingsonderzoek gegarandeerd wordt: niet alleen het screeningsonderzoek maar ook alles wat daarop volgt (de diagnostische test én de behandeling) moeten effectief, kwaliteitsvol én toegankelijk zijn.

In het bevolkingsonderzoek Aangeboren aandoeningen is op 1/1/2019 aan de oorspronkelijke lijst van 11 zeldzame ziekten, mucoviscidose toegevoegd. Op die manier komt de Vlaamse overheid tegemoet aan de beslissing van de Interministeriële Conferentie Volksgezondheid en aan de resolutie van het Vlaams Parlement om tegen eind 2019 de opsporing van deze ziekte te implementeren.

De technische voorbereiding van de implementatie van mucoscreening (met inbegrip o.a. van onderhandeling met RIZIV over terugbetaling van een kwaliteitsvolle zweetest (diagnose), en lange discussies tussen experts over het op te sporen DNA-panel en de ethische consequenties op vlak van opsporen van dragerschap) heeft twee jaar in beslag genomen. Dat kan lang – te lang – lijken, maar was noodzakelijk om van bij de start van de screening de gewenste kwaliteit te kunnen garanderen aan de betrokken doelgroep en hun ouders. Uit een voorlopige evaluatie blijkt intussen dat we de gestelde doelstellingen op vlak van mucoviscidosescreening ook bereiken.

De screening naar SMA in de Franse Gemeenschap is een wetenschappelijk onderzoeksproject dat gesponsord wordt door de farmaceutische bedrijven die geneesmiddelen voor SMA ontwikkelen, en kan dus bezwaarlijk gezien worden als een onderdeel van het officieel screeningsprogramma in Wallonië en Brussel. Dit wordt echter niet expliciet meegedeeld aan de ouders; er wordt hen geen geïnformeerde toestemming gevraagd voor deelname. Het is maar de vraag hoe de financiering van deze screening (en terugbetaling van de behandeling) zal geregeld worden eens het onderzoeksproject afloopt.

Het lijkt me als Vlaams minister voor Volksgezondheid geen na te volgen strategie om deze farmaceutische bedrijven een 'relatief' goedkope screening te laten sponsoren, wetende dat zij een monopolie positie bekleden en een hoge prijs vragen voor nieuwe geneesmiddelen waarvan de werkzaamheid nog volop wordt onderzocht.

Op het moment dat aan het agentschap Zorg en Gezondheid het voorstel werd gedaan door dr. Servais (de voortrekker van het onderzoeksproject in Wallonië) om het bevolkingsonderzoek uit te breiden met een screening naar SMA, maart 2018, was uitsluitend het Waalse screeningscentrum van Luik in het project betrokken. De andere screeningscentra in Wallonië en Brussel waren op dat moment nog niet betrokken. Op basis van het overleg in kwestie, het advies van de Vlaamse screeningscentra en de wetenschappelijke literatuur, is op dat moment beslist om niet als overheid op het voorstel in te gaan. Aan dr. Servais werd wel uitgelegd welke stappen hij moest zetten om zijn onderzoeksproject voor advies voor te leggen aan de werkgroep Bevolkingsonderzoek, waarna eventueel toestemming kon worden gegeven. Voor bevolkingsonderzoek in Vlaanderen is immers toestemming van de minister noodzakelijk (cfr. besluit van de Vlaamse Regering van 12/12/2008 betreffende bevolkingsonderzoek in het kader van ziektepreventie).

Die aanvraag voor toestemming voor Bevolkingsonderzoek werd uiteindelijk niet ingediend, en begin januari 2019 lasen we in de pers dat het wetenschappelijk onderzoek werd uitgebreid naar heel Wallonië, en werd de Vlaamse overheid op die manier gestaag onder druk gezet om hetzelfde te doen.

Ondanks deze druk blijft het standpunt onveranderd:

Omdat er veel zeldzame ernstige of dodelijke ziekten zijn die kunnen worden opgespoord en er keuzes moeten worden gemaakt in het besteden van publieke middelen op een transparante manier. We geven op dit moment prioriteit aan een aantal zeldzame ziektes die ook een zware impact hebben op gezinnen en waarvoor de wetenschappelijke argumenten om te screenen momenteel sterker zijn, te beginnen met mucoviscidose.

Omdat er voor SMA nog (steeds) te veel wetenschappelijke onduidelijkheid is over de effectiviteit van behandelmogelijkheden en het nut van screening voor de hele doelgroep. Indien niet, zou een wetenschappelijk onderzoek op grote schaal, zoals in Wallonië, immers niet nodig zijn. Bijvoorbeeld: er zijn drie types van behandeling in ontwikkeling, waarvan actueel slechts 1 terugbetaald wordt door het RIZIV. Maar welk type behandeling het beste is voor welk type van de ziekte, wat de behandelresultaten op langere termijn zijn, wat de eventueel negatieve effecten van de behandeling zijn, moet nog verder worden onderzocht.

2. Het uitbreiden van de neonatale screening is niet verbonden aan de beheersovereenkomsten. De organisaties met terreinwerking die instaan voor de uitvoering van het bevolkingsonderzoek hebben als opdracht om beslissingen m.b.t. het bevolkingsonderzoek mee voor te bereiden en uit te voeren. Als het huidige panel op te sporen aandoeningen wordt uitgebreid, zal er wel een budgetverhoging nodig zijn voor de betrokken screeningscentra, maar die mogelijkheid zit vervat in de beheersovereenkomsten.

Ik herhaal dat we in Vlaanderen niet starten met een screening zonder dat het zeker is of de behandeling werkt en hoe lang, en of ze gegarandeerd toegankelijk is voor alle patiënten die worden opgespoord. Allemaal – nog steeds – onzekere parameters in het geval SMA. We blijven de evidentie nauwgezet opvolgen, en als er reden is om een ander standpunt in te nemen, zal dat zeker gebeuren.

Als SMA binnen afzienbare tijd als prioritair op te sporen ziekte naar voor zou geschoven worden, kan dit dus in kader van de beheersovereenkomsten, mits daarvoor ook het bijkomende budget wordt voorzien.

3. De Vlaamse screeningscentra en het agentschap Zorg en Gezondheid werken momenteel aan een instrument om op een transparante wijze te verantwoorden waarom we in Vlaanderen kiezen voor de ene ziekte en niet voor de andere. De genenpoel van de Vlaamse bevolking is bijvoorbeeld mee bepalend, maar ook de accuraatheid van het beschikbare screeningsinstrument (vals-negatieven vermijden, zo weinig mogelijk vals-positieven), de mate waarin de ziekte vroeg op te sporen is, de beschikbaarheid van betrouwbare diagnostiek, de beschikbaarheid (en betaalbaarheid) van behandeling. Het is de bedoeling dit instrument te laten valideren tegen het einde van dit jaar. Daarna moet dat instrument worden toegepast op een lijst van 'kandidaat-ziekten' (opgesteld op basis van een internationale vergelijking) om een prioriteitenlijst op te stellen.

Zo besliste de IMC Volksgezondheid in 2016 om prioritair in te zetten op mucoviscidose, SCID, lysosomale stapelingsziekten en hemoglobinopathiën.

De Vlaamse werkgroep Aangeboren aandoeningen, die de kwaliteit en werking van het bevolkingsonderzoek Aangeboren aandoeningen opvolgt, zal met het gevalideerde instrument een prioriteitenlijst adviseren. In deze werkgroep zijn alle betrokken partijen in het bevolkingsonderzoek vertegenwoordigd (patiënten, ethicus, vroedvrouwen, Kind & Gezin, gynaecologen, kinderartsen, screeningscentra, klinische biologen).

Dat advies zal vervolgens voorgelegd worden aan de werkgroep Bevolkingsonderzoek, die vanuit een meer onafhankelijke positie advies geeft aan de minister (in de werkgroep Bevolkingsonderzoek zetelen leden ten persoonlijke titel, niet om organisaties te vertegenwoordigen).

We willen die oefening elke 5 jaar herhalen. Dat heeft transparantie voor alle betrokken actoren, wetenschappers en voor de samenleving als voordeel. Dit belet niet om tussentijdse evaluaties te doen (op vraag of op eigen initiatief) en de prioriteitstelling zo nodig aan te passen.

Het is belangrijk ook nog eens te onderstrepen dat na de beslissing om iets op te sporen, een proces van voorbereiding moet doorlopen worden om tot gedragenheid en standaardisatie te kunnen komen, validering van de screeningstest, opmaken van procedures en draaiboeken, besprekingen o.a. met de federale overheid (FOD Volksgezondheid, RIZIV) over hun bevoegdheden en tussenkomst (nl. curatie en terugbetaling). Deze voorbereiding neemt tijd in beslag.