

SCHRIFTELIJKE VRAAG

nr. 758

van **ELKE SLEURS**

datum: 23 juni 2021

aan **WOUTER BEKE**

VLAAMS MINISTER VAN WELZIJN, VOLKSGEZONDHEID, GEZIN EN ARMOEDEBESTRIJDING

Spierziekte spinale musculaire atrofie (SMA) - Screeningvoorstel technische werkgroep

Anderhalf jaar geleden leerde Vlaanderen baby Pia kennen. Dat meisje leidt aan de zeldzame spierziekte SMA. Sindsdien hebben verschillende fracties via parlementaire initiatieven die thematiek onder de aandacht gebracht. In een van zijn laatste antwoorden stelde de minister dat een technische werkgroep rond SMA voorbereidend werk moest doen om tot een kwaliteitsvol screeninginstrument te komen. Op basis hiervan heeft men meer dan 80 zeldzame ziekten, waaronder SMA, beoordeeld. Zo is men gekomen tot een lijst van 28 ziekten die 'gewikt en gewogen' zijn voor de prioriteitenlijst.

Daarnaast is er ook overlegd met de adviseur-generaal geneesmiddelen van het RIZIV over de terugbetaling van Zolgensma. Want de prijs van de behandeling is een belangrijke voorwaarde in het systematisch opsporen van SMA.

Volgens de minister zou de technische werkgroep voor deze zomer met haar uitgewerkt voorstel en advies komen. En na een gunstige beoordeling van de werkgroep Bevolkingsonderzoek kan een beslissing voor de uitrol worden genomen. Er zal echter een overleg met het federale niveau en de andere deelstaten moeten plaatsvinden om af te spreken wie wat zal betalen. De hoop is uitgesproken om vanaf 2022 met een screeningprogramma voor SMA te starten voor alle pasgeborenen in Vlaanderen.

1. Is het verslag van de technische werkgroep rond SMA klaar? Zo ja, wat wordt aanbevolen? Welke suggesties worden gedaan? Graag een uitgebreide toelichting.
2. Heeft de minister overleg gepland met zijn collega-ministers van Volksgezondheid inzake het afsprakenkader voor het financiële luik? Wat is de stand van zaken?

ANTWOORD

op vraag nr. 758 van 23 juni 2021

van **ELKE SLEURS**

1. Het antwoord wordt gekaderd in de ruimere oefening om prioriteiten te stellen voor uitbreiding van de neonatale screening.

Situering

Theoretisch kunnen er meer dan 6.100 zeldzame aandoeningen opgespoord worden bij pasgeborenen. Deze aandoeningen allemaal systematisch opsporen is budgettair en logistiek niet mogelijk en wellicht ook niet zinvol. De overheid moet dus keuzes maken.

Achter elk van die vele zeldzame ziekten schuilen tragische verhalen. Niet elk verhaal bereikt even goed de publieke aandacht. Van een overheid, bevoegd voor public health, wordt wel verwacht rekening te houden met alle burgers. De overheid moet dus rationele en gemotiveerde keuzes maken.

De criteria in het besluit van de Vlaamse Regering van 12/12/2008 betreffende bevolkingsonderzoek in het kader van ziektepreventie, gebaseerd op de criteria van Wilson en Jungner¹, worden internationaal gehanteerd om de wenselijkheid en haalbaarheid van systematisch opsporen van een ziekte te evalueren. Deze criteria zijn bedoeld voor grondige evaluatie van één welbepaalde ziekte. Ze laten niet toe om meerdere ziekten tegenover elkaar af te wegen om tot prioriteiten te komen. Om die reden heeft de Vlaamse werkgroep Aangeboren aandoeningen², een afzonderlijke procedure uitgewerkt om prioriteiten te stellen.

In deze procedure 1) worden uitgangspunten, (ethische) principes en een concrete doelstelling voor het Bevolkingsonderzoek Aangeboren aandoeningen geëxpliciteerd en 2) wordt een instrument omschreven om zeldzame ziekten tegenover elkaar af te wegen. Die afweging gebeurt door evaluatie van een aantal vaste criteria volgens een vastgelegde volgorde aan de hand van beschikbare wetenschappelijke evidentie en uitgaande van eenzelfde doelstelling. De criteria verwijzen enerzijds naar wenselijkheid, en anderzijds naar screenings-technische haalbaarheid.

Deze procedure is complementair met de criteria in het besluit over bevolkingsonderzoek. Het blijft m.a.w. noodzakelijk om voor de ziekten, die op basis van deze procedure als prioriteit naar voor worden geschoven, een gedetailleerd organisatiemodel voor te leggen aan de werkgroep Bevolkingsonderzoek³.

Prioriteiten

Op basis van de procedure om prioriteiten te stellen is door de werkgroep Aangeboren aandoeningen een groep van 7 ziekten naar voor geschoven waarvoor opstarten van neonatale screening wenselijk en technisch haalbaar is. De werkgroep

¹ [Wilson J et al, 1968](#). Voor zeldzame ziekten zijn trouwens ook aangepaste criteria van W&J geformuleerd, omwille van heel lage incidentie, complexiteit, soms gebrek aan evidentie en noodzaak aan specifieke ethische/organisatorische omkadering.

² Deze werkgroep ondersteunt de Vlaamse overheid bij de opvolging van het bevolkingsonderzoek Aangeboren aandoeningen.

³ Deze werkgroep adviseert de minister over initiatieven van bevolkingsonderzoek, ook over initiatieven van de overheid zelf ([Beleid, regelgeving en Vlaamse werkgroep Bevolkingsonderzoek - Bevolkingsonderzoek](#))

Bevolkingsonderzoek heeft op 29/06/2021 gunstig advies gefinaliseerd over die procedure, met een aantal voorwaarden omtrent

- omzichtige communicatie over het resultaat;
- verdere uitwerking in de volgende fase;
- meer duidelijkheid over de rangschikking van SMA (uitblijven duurzame terugbetaling van zowel Spinraza® als Zolgensma®) en SCID (bijkomende info nodig van experts immuunziekten over ernst van de aandoening voor en na screening).

Over de prioriteitenlijst zelf heeft de werkgroep Bevolkingsonderzoek zich niet uitgesproken, omdat er nog onduidelijkheden zijn voor SMA en SCID, en omdat, conform de regelgeving over Bevolkingsonderzoek voor elke ziekte die wordt weerhouden nog een concreet advies moet volgen.

Een 3-tal van de ziekten in de groep die als prioriteit zijn weerhouden, kunnen vrij snel geïmplementeerd worden in het Bevolkingsonderzoek Aangeboren aandoeningen. Voor andere ziekten zoals bijv. SMA, moet een nieuwe organisatorische omkadering worden voorzien en moet een technische werkgroep worden opgestart met alle betrokken partijen om een kwaliteitsvol en gedragen organisatie-model uit te tekenen. De screeningskost voor deze ziekten ligt ook hoger. Het is dus noodzakelijk om op duurzame wijze het nodige budget en capaciteit te voorzien om continuïteit in het bevolkingsonderzoek Aangeboren aandoeningen, uitgebreid met een aantal ziekten, te garanderen. Hierbij moet rekening gehouden worden met de opportuniteitskost: opsporen van SMA mag screening naar andere eenvoudiger te implementeren ernstige zeldzame ziekten niet in de weg staan.

De betrokken werkgroepen en Zorg en Gezondheid wijzen op de grote gevoeligheid van het onderwerp en de mogelijke controverse die eender welke prioriteitenlijst zou oproepen bij gespecialiseerde artsen, ouders en patiënten met een zeldzame ziekte die niet tot de prioriteiten behoort. Daarom is hierover tot nu toe nog niet gecommuniceerd.

SMA

Voor SMA heeft een technische werkgroep dit voorjaar een consensus uitgewerkt waarin de krijtlijnen van een organisatie-model voor opsporen van SMA zijn beschreven. Voorafgaand aan de integratie van SMA in het bevolkingsonderzoek zullen een aantal ethische en organisatorische aspecten moeten uitgewerkt worden waaronder de terugbetaling van het geneesmiddel Zolgensma. Verder overleg met de betrokken actoren is daarover nodig en wordt gepland.

2. Op administratief niveau is al midden 2020 aangekaart dat het moeilijk werkbaar is dat de CTG beslissingen neemt over terugbetaling van behandelingen die vooral (uitsluitend) effectief zijn in geval van vroegdiagnose, zonder rekening te houden met haalbaarheid of wenselijkheid van opstarten van een neonataal (screenings)programma voor de daarvoor bevoegde overheden (i.e. de gemeenschappen).

Zorg en Gezondheid wijst sinds midden 2020 herhaaldelijk op de noodzaak om in overleg te gaan met de bevoegde minister over enerzijds terugbetalingsmodaliteiten en anderzijds garanties over kwaliteitsvoorwaarden in geval van systematisch opsporen van SMA.

De IKW over niet-covid-gerelateerde zaken zijn begin juli 2021 opgestart. Bespreken van randvoorwaarden m.b.t. SMA is door Z&G uitdrukkelijk als prioriteit naar voor geschoven.