

ASTRAZENECA – PARTNER CONTENT

'Wij pakken de handschoen op. Zelfs als er maar één patiënt mee geholpen is'

In Nederland is bij meer dan 1 miljoen patiënten een zeldzame ziekte gediagnosticeerd.¹ Slechts voor 5 procent van deze patiënten is een behandeling beschikbaar.² Jeroen van Deursen, Carla Hartman en Ilse van Hensbeek vertellen wat AstraZeneca doet om goede behandeling beschikbaar te maken voor mensen met een ziekte die weinig voorkomt.

Zeldzame ziekten zijn niet zeldzaam

Zeldzame ziekten treffen slechts een handvol mensen: van 1 op 2000³ tot soms zelfs slechts 1 op de miljoen⁴ mensen. Veel zeldzame ziekten zijn ernstig, chronisch en progressief, hebben een grote impact op de kwaliteit van leven en gaan gepaard met hoge sterftcijfers. 75 procent treft kinderen en 30 procent van hen sterft voor hun vijfde verjaardag.⁵ Hoewel de ziekte zelf zeldzaam is, is het niet zeldzaam om zo'n ziekte te hebben. Er zijn zo'n 7.000 erkende zeldzame ziekten en het Nederlands Huisartsen Genootschap schat dat elke huisartsenpraktijk in Nederland ongeveer 150 patiënten met zo'n ziekte heeft.⁶

De impact van zeldzame aandoeningen op

patiënten, hun families en de samenleving is groot. Naast vaak een hoge ziektelast, is er veel onzekerheid. Omdat artsen weinig patiënten zien met specifieke klachten, duurt het gemiddeld bijna vijf jaar om de juiste diagnose te stellen.⁷ En omdat er nauwelijks behandelopties zijn⁸, is er weinig uitzicht op verbetering. Niets doen is geen optie, zo zeggen Hartman, Van Deursen en Van Hensbeek.

Hoe zeldzamer de aandoening, hoe moeilijker onderzoek is

"Hoe beter we de mechanismen snappen waarom een patiënt ziek wordt, hoe beter we medicijnen kunnen ontwikkelen die hierop ingrijpen. In de laboratoria bij Acerta Pharma in Oss werken scheikundigen en biologisch onderzoekers samen om moleculen te vinden die een ziekte kunnen vertragen, stoppen of zelfs genezen. Wanneer een potentieel medicijn zich in het lab bewezen heeft, wordt het getest in zogeheten klinisch onderzoek. In zeer gespecialiseerde klinieken en onder strikte wet- en regelgeving wordt het medicijn dan aan mensen toegediend. Voor zeldzame ziekten is klinisch onderzoek extreem ingewikkeld: hoe zeldzamer de aandoening, hoe moeilij-

ker het is om patiënten te identificeren die mee kunnen doen aan klinisch onderzoek. Het duurt dus langer om een nieuw geneesmiddel te vinden én te testen", zo vertelt Carla Hartman, hoofd klinisch onderzoek Hematology bij Acerta Pharma, de tak voor onderzoek naar bloedkanker bij AstraZeneca.

Kleine patiëntgroepen vaak te weinig zichtbaar

"Als na lang onderzoek een geneesmiddel is gevonden dat werkt, is het niet gezegd dat de patiënt er ook direct gebruik van kan maken", zo vertelt Jeroen van Deursen, medisch eindverantwoordelijke in Nederland voor Alexion, de zeldzame ziekten-tak van AstraZeneca. "Ten eerste kan het geleverde bewijs uit klinisch onderzoek toch onvoldoende zijn voor goedkeuring, juist omdat de groep mensen met de aandoening zo klein is. Daarnaast zijn kleine patiëntgroepen vaak onzichtbaar voor beleidsmakers, waardoor de urgentie voor vergoeding ontbreekt. Als je heel ziek bent, kun je vaak niet vechten, maar patiënten worden daar door het systeem wel toe gedwongen. Wij denken dat daar een belangrijke taak ligt voor artsen, patiëntbelangenverenigingen en medicijnmakers om meer aandacht te genereren voor kleine groepen mensen met een zeldzame aandoening."

AstraZeneca maakt zich hard voor innovatie: van het sneller diagnosticeren van patiënten, via de ontwikkeling van geneesmiddelen naar slimmere en snellere toelating en vergoeding, zodat medicijnen de patiënt kunnen helpen.

Als een ziekte nauwelijks voorkomt is het niet alleen erg moeilijk om onderzoek te doen, maar ook erg risicovol. "Medicijnonderzoek wordt gefinancierd door investeerders en de kosten van zowel het geslaagde als het mislukte onderzoek moet terugverdiend worden door de medicijnen die uiteindelijk een kleine groep patiënten bereiken. Er is dus een heel gezond bedrijf, liefst met een brede waaier aan medicijnen, nodig om deze risico's te nemen. AstraZeneca is zo'n bedrijf. Wij pakken de handschoen op. Zelfs als er maar één patiënt mee geholpen is", zo zegt medisch directeur Ilse van Hensbeek.

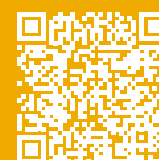


AstraZeneca in Nederland
Méér kwaliteit van leven en een langere levensverwachting, ondanks een ernstige (chronische) ziekte. Dat is waar de 90.000 werknemers van AstraZeneca wereldwijd voor werken. We verleggen grenzen in wetenschap om sneller, betere behandelingen te ontwikkelen voor patiënten voor enkele van de ernstigste, zeldzame ziekten.

In Nederland doen we dat zowel onder de vlag van Acerta Pharma als van Alexion. Acerta Pharma is sinds 2015 onderdeel van AstraZeneca, als research & development centre of excellence voor bloedziekten. Meer dan 100 onderzoekers houden zich bezig met het ontwikkelen van medicijnen voor verschillende hemato(onco)logische aandoeningen. Alexion is de zeldzame ziekten-unit van AstraZeneca. Alexion werkt vooral aan enzymvervangende therapie: het aanvullen van cruciale eiwitten, die mensen met een zeldzame ziekte soms missen, en remming van het zogeheten complementsysteem, dat in overactieve toestand tot ziekte kan leiden. Alexion richt zich vooral op zeldzame bloedziekten (hematologie), nierziekten (nefrologie), neurologie, metabole ziekten, oncologie en cardiologie.

Er werken in totaal ruim 450 mensen voor AstraZeneca in Nederland.

Meer lezen over onze aanpak van Zeldzame ziekten?



Scan de QR code

¹ Deden AC, Alma MA, Van Zelst-Stam WAG. Understanding the diagnostic delay in rare diseases. *Ned Tijdschr Geneesk* 2020;164:D4147

² EURORDIS. What is a rare disease Factsheet http://www.eurordis.org/sites/default/files/publications/Fact_Sheet_RD.pdf

³ REGULATION (EC) No 141/2000 OF THE EUROPEAN PARLIAMENT AND OF THE COUNCIL of 16 December 1999 on orphan medicinal products http://ec.europa.eu/health/files/eudralex/vol-1/reg_2000_141/reg_2000_141_en.pdf

⁴ REGULATION (EU) No 536/2014 OF THE EUROPEAN PARLIAMENT AND OF THE COUNCIL of 16 April 2014 on clinical trials on medicinal products for human use, and repealing Directive 2001/20/EC. <http://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/PDF/?uri=CELEX:32014R0536&qid=1421232837997&from=EN>

⁵ EURORDIS. What is a rare disease Factsheet http://www.eurordis.org/sites/default/files/publications/Fact_Sheet_RD.pdf

⁶ NHG: <https://www.nhg.org/zeldzame-ziekten/#:~:text=In%20totaal%20lijden%20ongeveer%20C3%A9%3%A9n,honderdvijftig%20pati%C3%ABnten%20per%20gemiddelde%20huisartsenpraktijk>

⁷ Engel PA, et al. Physician and patient perceptions regarding physician training in rare diseases: the need for stronger educational initiatives for physicians. *Journal of Rare Diseases*. 2013;1(2):1-15.

⁸ EURORDIS. What is a rare disease Factsheet http://www.eurordis.org/sites/default/files/publications/Fact_Sheet_RD.pdf