

ALS LIGA BELGIË vzw
Nationaal secretariaat
Campus Sint Rafaël, blok H, 4^{de} verdieping, lokaal 463
Kapucijnenvoer 33 B/1
B-3000 Leuven

Tel: 016-23.95.82
Fax: 016-29.98.65
www.alsliga.be
info@alsliga.be

Visietekst

Bevordering van ALS onderzoek

1. ALS en de ALS LIGA

De ALS LIGA is een patiëntenvereniging voor mensen die lijden aan Amyotrofische Laterale Sclerose (ALS). ALS is een progressieve aandoening waarbij selectief de motorische zenuwcellen in de hersenen en in het ruggenmerg afsterven. Het verlies van de bezuwering van de spieren leidt tot krachtsverlies en verlamming van de ledematen. Ook ademhalings-, slik-, kauw- en spraakspieren worden aangetast. De geestelijke vermogens en de zintuiglijke capaciteiten blijven bewaard waardoor de aandoening emotioneel zeer belastend en confronterend is voor zowel de patiënt als zijn omgeving.

ALS begint meestal op volwassen leeftijd. Het aantal nieuwe gevallen per jaar is circa 1,4 tot 3 per 100.000 mensen. De prevalentie (het aantal patiënten op een bepaald ogenblik) ligt tussen de 4 en 6 per 100.000 mensen. In België lijden ongeveer 1.000 mensen aan ALS. Jaarlijks overlijden er meer dan 200 patiënten en komen er ongeveer evenveel bij. De levensverwachting en het verloop van de ziekte verschilt sterk tussen patiënten onderling. De aandoening is meestal binnen 3 tot 5 jaar fataal, doorgaans als gevolg van verlamming van de ademhalings- of slikspieren.

Gezien de ernst van de aandoening moet er zo snel mogelijk **een behandeling voor ALS** gevonden worden. Momenteel is er immers geen afdoende therapie of een preventiemethode voorhanden. Daarenboven is de oorzaak van ALS nog niet gekend. Bij ongeveer 10 % van de ALS patiënten is er een onderliggende erfelijke oorzaak. In dat geval is ALS een dominante erfelijke ziekte. Dit betekent dat elke nakomeling van iemand die erfelijke ALS ontwikkelt één kans op twee heeft om ALS te krijgen. De overgrote

meerderheid (circa 90%) van de ALS patiënten heeft sporadische ALS waarbij er geen genetische oorzaak is. De symptomen van erfelijke ALS zijn dezelfde als van de niet erfelijke vorm.

De ALS LIGA reikt patiënten met ALS een gediversifieerde dienstverlening aan, gaande van het verstrekken van informatie over alle aspecten van de ziekte aan personen (en hun entourage) die net de diagnose hebben vernomen, tot het uitlenen van hulpmiddelen om hun mobiliteit en communicatie zo lang mogelijk te verzekeren. Daarenboven bestaat er bij onze leden een grote interesse in het **wetenschappelijk onderzoek** naar de preventie, oorzaak, diagnose en behandeling van hun aandoening. De ALS LIGA volgt daarom aandachtig de resultaten van het wetenschappelijk onderzoek in het domein van neurodegeneratieve aandoeningen in het algemeen en aangaande ALS in het bijzonder. De ALS LIGA verspreidt deze informatie via zijn website en nieuwsbrief.

2. De ALS LIGA onderschrijft recente initiatieven voor bevordering van wetenschappelijk onderzoek

De ALS LIGA heeft met interesse kennis genomen van een aantal recente initiatieven die biomedisch onderzoek in totaliteit wenst te stimuleren, en wil deze initiatieven ook praktisch ondersteunen.

De ALS LIGA wenst ondermeer een bijdrage te leveren aan de uitbouw van het **Fonds Zeldzame Ziekten en Weesgeneesmiddelen**, en mee te werken aan het **Belgisch Plan Zeldzame Ziekten**.

Bovenal onderschrijven wij de verruiming sinds 2006 van het subsidie-aanbod van het agentschap voor Innovatie door Wetenschap en Technologie (IWT) met het programma **Toegepast Biomedisch onderzoek met Maatschappelijke finaliteit (IWT-TBM)**¹. Via de tot dusver voorziene enveloppe van 6M€/jaar worden jaarlijks klinische projecten gesteund met een begroting tussen 250.000 – 1.000.000 euro. De ALS LIGA erkent dat dit kanaal kansen biedt om onderzoek te ondersteunen dat zich reeds ver in de overgang van *bench to bedside* bevindt met een duidelijke meerwaarde voor de Vlaamse gezondheidssituatie. Echter, het bijkomende selectiecriteria waarbij afwezigheid van industriële interesse in het voorstel dient te worden aangetoond, beschouwt de ALS LIGA als te stringent in het geval van onderzoek naar een zeldzame ziekte, zoals ALS. Onderzoeksiniciatieven in dit domein zijn immers schaars en de economische finaliteit van dergelijk onderzoek is a priori eerder

gering, ook al is de inspanning (mede) gedragen door het bedrijfsleven. Als aandoening die minder dan 5 personen per 10.000 Europeanen treft wordt ALS gedefinieerd als zeldzame ziekte (weesziekte, *orphan disease*). Deze erkenning heeft de Europese (EMA)² en Amerikaanse (FDA)³ regelgevende instanties voor geneesmiddelen registratie er toe aangezet een versnelde procedure aan lagere kostprijs te voorzien voor het marktautorisatie traject van een potentiëel medicijn tegen ALS (*orphan designation*). In overeenstemming met de aanmoedigingen door EMA en FDA voor de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen bepleit de ALS LIGA dat het IWT aangepaste modaliteiten zou hanteren voor de selectie van onderzoeksprojecten naar zeldzame ziekten.

De ALS LIGA verwelkomt eveneens de inspanningen van de Vlaamse Regering tot uitbouw van **Vlaanderen Medisch Centrum**⁴ binnen het Pact 2020 - Vlaanderen In Actie. De ALS LIGA wenst ondermeer een constructieve bijdrage te leveren aan het recent opgerichte **Centrum voor Medische Innovatie (CMI)**, dat via stimulering van translationeel onderzoek bevindingen vanuit het laboratorium naar de patiënt wil brengen. Het CMI bundelt daarbij de kennis aanwezig binnen de Vlaamse universiteiten, universitaire ziekenhuizen, wetenschappelijke instellingen, de farma- en biotechindustrie, en patiëntenorganisaties. Indien gewenst kan de ALS LIGA in dit kader zijn leden mobiliseren tot participatie in het verzamelen van patiëntenmateriaal dat in een biobank zal worden bewaard en aangewend voor onderzoek, en waarvoor de Vlaamse regering een budget van 9,5M€ heeft voorzien. Tevens hoopt de ALS LIGA dat in een tweede fase van de CMI werking, ALS onderzoek binnen een ruime thematische projectoproep (bv. neurodegeneratieve aandoeningen) kan worden ingepast.

3. De ALS LIGA als onderzoekscommunicator

Terwijl academische onderzoeksgroepen in het verleden hun inspanningen doorgaans in eerste instantie richtten tot kennisoverdracht via publicatie in wetenschappelijke tijdschriften, focussen zij nu meer en meer op vormen van economische waardecreatie, zoals patentname, uitlicenciëring, spin-off creatie. Binnen het bedrijfsleven wordt om redenen van bescherming van intellectuele eigendom en daaruit voortvloeiend behoud van concurrentiepositie ook een uitermate strikte geheimhoudingsplicht gehanteerd tijdens de onderzoeksfase. Dit leidt er echter toe dat, ondanks de bovenbeschreven grote interesse van zijn leden, de ALS LIGA slechts inzicht krijgt over de vordering van het onderzoek als het zich in een eerder laat of gefinaliseerd stadium bevindt.

Onder impuls van regionale, federale en internationale overheden kende het wetenschappelijk onderzoek de afgelopen jaren een duidelijke tendens tot consortiumvorming. Steeds meer publieke financiers van onderzoek stimuleren tijdelijke samenwerkingsverbanden, preferentieel tussen academische- en industriële onderzoeksgroepen. Immers, bundeling van kennis opgebouwd binnen de universitaire- en bedrijfswereld leidt vaak tot synergieën die onderzoek aanzienlijk kunnen versnellen. De ALS LIGA is eveneens voorstander van deze evolutie en wenst daarom een nog actievere rol in **onderzoeksgesprekken naar patiënten** met ALS te vervullen. Dit kan best gebeuren door deelname aan onderzoeksprojecten onder de vorm van uitvoering van **werkpakketten gericht op informatieverspreiding naar de doelgroep**. In samenspraak met de betrokken academische en industriële onderzoekers is de patiëntenvereniging immers het aangewezen kanaal om vorderingen in onderzoek op gepaste wijze (taalgebruik, realiteitsbesef) te communiceren.

We bepleiten daarom bij de diverse publieke financiers van onderzoek dat de modaliteiten voor projectoproepen verruimd worden ter aanvaarding van patiëntenorganisaties als uitvoerder van onderzoeksgesprekken. Toegang tot een bijhorend budget om deze taak volwaardig te kunnen uitvoeren is daarbij onmisbaar.

4. Nood aan co-financiering voor deelname aan onderzoeksprogramma's

Patiëntenverenigingen, waaronder de ALS LIGA, zijn aangewezen partners binnen de door Europese instanties gefinancierde kanalen EU - Programma Volksgezondheid 2008-2013 (het genereren en verspreiden van informatie en kennis op gezondheidsgebied)⁵ en EU - Interreg (grensoverschrijdende samenwerking, o.a. op gebied van prioriteit mens – welzijn)⁶. Echter, de modaliteiten voor deelname aan deze programma's vereisen substantiële **co-financiering** door de uitvoerders, ofwel in contanten (*in cash*), ofwel onder de vorm van een equivalent aan bezoldigde personeelsinzet (*in kind*). Grotere organisaties zijn doorgaans in staat deze budgettaire inspanning te leveren. Als eerder kleinschalige vereniging zonder winstoogmerk die voor zijn dagelijkse werking nagenoeg uitsluitend beroep doet op vrijwilligers heeft de ALS LIGA nood aan **toegang tot externe fondsen** die als co-financiering voor deelname aan dergelijke onderzoeksprogramma's kunnen worden ingezet. In deze optiek wenst de ALS LIGA een goede communicatie met bevoegde provinciale- en Vlaamse overheidsinstanties uit te bouwen.

5. Niet aflatende fondsenwerving

De ALS LIGA wenst het stimuleren van wetenschappelijk onderzoek blijvend te ondersteunen door een substantieel gedeelte van zijn fondsenwerving expliciet te verzamelen in het ALS Onderzoeksfonds. Gelden afkomstig van giften ten gunste van dit fonds aangevuld met inkomsten afkomstig van specifiek daartoe opgezette acties worden oordeelkundig ten dienste gesteld van onderzoeksgroepen die zich toelagen op ALS onderzoek.

6. Samenvatting

De ALS LIGA aanziet het bevorderen van hoogstaand wetenschappelijk onderzoek naar ALS als een belangrijke kerntaak binnen haar werking. Op deze manier wensen wij bij te dragen aan een zo spoedig mogelijke behandeling voor de ziekte.

1. Wij bepleiten daarom bij regionale en federale overheden om meer financiële middelen vrij te maken om onderzoekers uit zowel universiteiten, universitaire ziekenhuizen als industrie toe te laten onderzoeksprojecten versneld uit te voeren.

2. De ALS LIGA wenst een nog belangrijkere rol te spelen als onderzoekscommunicator om patiënten met ALS gepast te informeren aangaande vorderingen in het wetenschappelijk onderzoek rond hun ziekte.

3. De ALS LIGA verzamelt blijvend financiële middelen in het ALS Onderzoeksfonds welke ten dienste worden gesteld van onderzoeksgroepen die zich toelagen op ALS onderzoek.

Bronvermelding:

¹ IWT programma *Toegepast Biomedisch onderzoek met een primair Maatschappelijke finaliteit* consulteerbaar via www.iwt.be/subsidies/tbm.

² Initiatieven van *European Medicines Agency (EMA): Human medicines – Orphan medicinal products* consulteerbaar via <http://www.ema.europa.eu/htms/human/orphans/intro.htm>.

³ Initiatieven van *US Food and Drug Administration (FDA): Developing products for rare diseases & conditions* consulteerbaar via <http://www.fda.gov/ForIndustry/DevelopingProductsforRareDiseasesConditions/default.htm>.

⁴ Conceptnota *Vlaanderen Medisch Centrum: Vlaanderen In Actie - doorbraak Warme Samenleving* consulteerbaar via www.vlaandereninactie.be.

⁵ EU programma Volksgezondheid 2008-2013 consulteerbaar via http://ec.europa.eu/health/programme/policy/index_en.htm

⁶ EU programma Interreg IV consulteerbaar via <http://www.grensregio.eu/interreg.aspx>