

BELGISCH PLAN VOOR ZELDZAME ZIEKTEN VRAGEN & ANTWOORDEN

Dit document werd opgesteld op initiatief van het Fonds Zeldzame Ziekten en Weesgeneesmiddelen, beheerd door de Koning Boudewijnstichting. Werkten mee aan deze tekst: Jean-Jacques Cassiman, Lode De Bot, Ingrid Jageneau, André Lhoir, Peter Raeymaekers, Chris Van Hul. Het document geeft de situatie weer d.d. januari 2015.

1. WAT IS EEN PLAN VOOR ZELDZAME ZIEKTEN?	4
2. WAT IS HET BELGISCH PLAN VOOR ZELDZAME ZIEKTEN?	5
3. WAAROM EEN PLAN ZELDZAME ZIEKTEN ?	6
4. WIE IS BIJ HET PLAN BETROKKEN/WIE BELANGT HET PLAN AAN ?	7
5. KAN MIJN ZIEKTE ERKEND WORDEN ALS ZELDZAME ZIEKTE?	9
6. WAT KAN IK VERWACHTEN VAN EEN GENETISCHE COUNSELING? EN WAT IS HET VERSCHIL TUSSEN EEN GENETISCHE COUNSELING EN EEN MULTIDISCIPLINAIRE CONSULTATIE?	10
7. WAT IS DE TAAK VAN EEN ZORGCOÖRDINATOR?	11
8. WAT BETEKENT HET STATUUT CHRONISCHE AANDOENING EN WAT HOUDT HET IN VOOR PERSONEN MET EEN ZELDZAME AANDOENING ?	12
9. WAT ZIJN KLINISCHE STUDIES EN WIE KAN ER AAN DEELNEMEN?	15

1. WAT IS EEN PLAN VOOR ZELDZAME ZIEKTEN?

De EU heeft **Zeldzame Ziekten** gedefinieerd als ziekten die levensbedreigend of chronisch invaliderend zijn en die in de bevolking bij minder dan 1 persoon op 2000 voorkomen. De meeste van deze ziekten zijn erfelijk bepaald, maar ook zeldzame kankers, zeldzame ziekten van het afweersysteem, aangeboren misvormingen en sommige toxische of infectieziekten behoren tot de zeldzame ziekten. Sommige zeldzame ziekten zijn nog veel minder frequent dan 1/2000, bijvoorbeeld 1/100.000 of 1/1.000.000. Elke zeldzame ziekte moet wel als een unieke medische entiteit gekend zijn. De lijst van alle zeldzame ziekten kan gevonden worden op de Belgische website van **Orphanet** of op de internationale site van Orphanet www.orpha.net

Dat een ziekte zeldzaam is, heeft zo zijn gevolgen. Want zeldzaam betekent meestal onbekend en onbekend is onbemind. Mensen met een zeldzame ziekte voelen zich daarom vaak verlaten en vergeten. Door de politieke verantwoordelijken, door artsen en andere zorgverleners, en door de biofarmaceutische industrie.

Tijd voor actie, vond de Europese Commissie, en ze vroeg alle lidstaten om tegen 2013 een strategie of **een plan** van dit document op te stellen voor patiënten met een zeldzame ziekte.

2. WAT IS HET BELGISCH PLAN VOOR ZELDZAME ZIEKTEN?

Begin 2014 ontplooipte België zijn **Plan voor Zeldzame Ziekten**. Het Plan bestaat uit 20 actiepunten verdeeld over vier domeinen. Het doel van dit Plan is om de levenskwaliteit van patiënten met een zeldzame ziekte op peil te brengen en de kennis, informatie en bewustwording over deze ziekten te verhogen.

De patiënt en zijn omgeving staan centraal in het Plan. De eerste twee domeinen groeperen immers 14 concrete acties die directe gevolgen hebben voor de diagnostiek en de zorg van de patiënt.

In **domein 1** leggen zes acties de nadruk op **het verbeteren en versnellen van de diagnose, het inschakelen van een breder team van specialisten** (met inbegrip van geneticici) **en een betere communicatie met de patiënt en zijn omgeving**.

Daarbij hoort ook het opzetten van een gespecialiseerd callcenter waar mensen dag en nacht terecht kunnen.

In **domein 2** hebben acht acties tot doel **de zorg te verbeteren**. In hoofdzaak door de expertise rond een bepaalde aandoening samen te brengen in expertisecentra en door – indien nodig – een zorgcoördinator de patiënt te laten begeleiden in alle aspecten van de zorg (medisch, sociaal, psychologisch, administratief, ...). Belangrijk is ook de uitwisseling van informatie tussen de expertisecentra en de

zorgverleners 'dichter bij huis' (o.a. de huisarts, kinesist, thuisverpleegkundige, ...) via het multidisciplinair elektronisch patiëntendossier. Maar even belangrijk is de opbouw van netwerken tussen Belgische experts onderling en met Europese collega's om expertise uit te wisselen en onderzoek te stimuleren.

Domein 3 bevat vier acties om **de bestaande kennis over zeldzame aandoeningen te bundelen, beter te verspreiden en verder uit te bouwen**.

Domein 4 legt nadruk op **het dynamische karakter van dit Plan**. Het is zeker geen eindpunt en er wordt voorzien in de oprichting van een specifiek team voor een permanente evaluatie en monitoring van de uitvoering van de diverse acties en het voorstellen van bijkomende acties.

De 20 acties van het Plan zijn gegroeid uit de 42 aanbevelingen die eind 2011 door het Fonds voor Zeldzame Ziekten en Weesgeneesmiddelen, beheerd door de Koning Boudewijnstichting, werden voorgesteld. Voor de uitvoering van het Plan is door de overheid een totaal jaarlijks budget van 15 miljoen euro voorzien en aan elke actie werd een specifiek budget toegekend.

Lees de tekst van het volledige Plan op:

www.rare-diseases.be

3. WAAROM EEN PLAN ZELDZAME ZIEKTEN ?

Zeldzaam betekent onbekend. Onbekend bij artsen en andere zorgverleners. Onbekend bij ziekenfondsen en sociale diensten. Onbekend in het wetenschappelijk onderzoek en bij de geneesmiddelenindustrie. Onbekend bij de politiek verantwoordelijken.

Door de zeldzaamheid van de ziekte ontbreekt bij huisartsen en specialisten vaak de specifieke kennis voor het stellen van de correcte diagnose of het optimaal behandelen van de ziekte. Patiënten met een zeldzame ziekte moeten vaak – dikwijls jarenlang – zoeken naar een arts (en andere zorgverleners, bv. kinesist, diëtist, ...) met voldoende expertise.

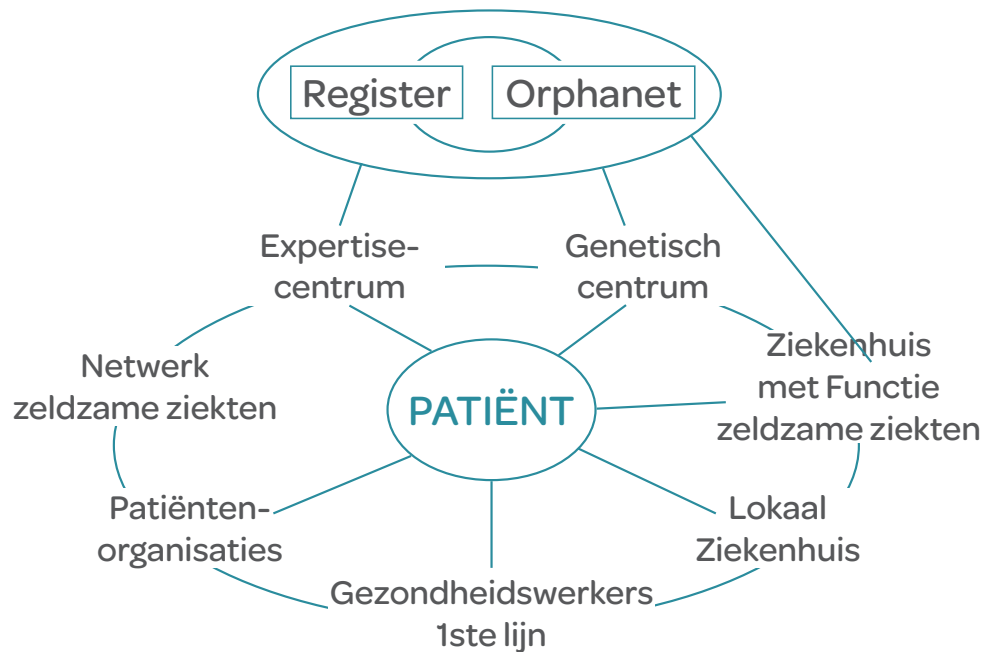
Zeldzame ziekten zijn vaak chronisch, complex en in veel gevallen ernstig tot levensbedreigend, omdat meerdere organen zijn aangetast, of omdat er een combinatie van medische en niet-medische zorg nodig is. Dat vraagt coördinatie tussen de verschillende behandelaars en daarom is multidisciplinaire zorg in expertteams vaak aangewezen.

Ondanks stimulansen vanuit de EU en de VS bestaan er slechts specifieke geneesmiddelen (de zogenaamde weesgeneesmiddelen) voor een heel kleine minderheid van patiënten met een zeldzame ziekte.

Over het voorkomen, het ontstaan en het verloop van de meeste zeldzame ziekten is er nog weinig bekend. Ook de specifieke medische en maatschappelijke noden van de patiënten werden tot vandaag weinig of niet in kaart gebracht.

Kortom, er is/was nood aan een gecoördineerde en geïntegreerde aanpak voor deze patiëntengroep. Niet met de bedoeling om hen te bevoordelen ten opzichte van anderen. Wel om hun achterstelling weg te werken. Laten we ook niet vergeten dat één zeldzame ziekte slechts enkele patiënten treft, maar dat de meer dan 6000 zeldzame ziekten samen een zeer grote groep mensen aanbelangen.

4. WIE IS BIJ HET PLAN BETROKKEN/ WIE BELANGT HET PLAN AAN?



HET NETWERK ZELDZAME ZIEKTEN

Alle zorgverleners die betrokken zijn bij de preventie, diagnose, behandeling en opvolging van een patiënt vormen een wettelijk erkend samenwerkingsverband of Netwerk. Huisartsen, andere lokale zorgverleners, ziekenhuizen, ziekenhuizen met een Functie zeldzame ziekten, genetische centra en expertise centra moeten, indien ze een patiënt willen blijven volgen, aansluiten bij deze Netwerken. Het Netwerk heeft een hiervoor aangeduide coördinator. Hij/zij verzorgt de organisatie en coördinatie van de deelnemers aan het Netwerk. Aan het jaarlijks, wettelijk verplicht overleg binnen het Netwerk, waarvoor een Netwerkcomité wordt aangesteld, nemen ook vertegenwoordigers van patiëntenverenigingen deel.

ZIEKENHUIZEN

Elk ziekenhuis dat wil toetreden tot een Netwerk zeldzame ziekten kan, mits het volgen van de zorgprogramma's zoals opgesteld door de leden van het Netwerk, de samenwerkingsovereenkomst tekenen en de patiënten verder opvolgen en behandelen.

ZIEKENHUIZEN MET EEN FUNCTIE ZELDZAME ZIEKTEN

Ziekenhuizen die voldoen aan bepaalde kwaliteitsnormen en die beschikken over een bewezen omkadering en infrastructuur kunnen erkend worden voor een 'Functie' zeldzame ziekten voor een specifieke zeldzame ziekte of groep van zeldzame ziekten. De Functie is een juridische term (zoals Functie spoedgevallen, intensieve zorgen, MUG, daghospitalisatie,...) en betekent het geheel van

activiteiten die de zorg en de behandeling van de patiënt ondersteunen en toegankelijk zijn voor alle disciplines in het ziekenhuis. Een ziekenhuis met dergelijke Functie maakt deel uit van een Netwerk zeldzame ziekten en kan patiënten, die werden geëvalueerd in een Expertisecentrum, mee verder opvolgen. Het is de bedoeling dat ook patiënten met een onzekere/ onduidelijke/nog geen diagnose in de ziekenhuizen met een Functie zeldzame ziekten terecht kunnen.

De ziekenhuizen met een Functie moeten voldoen aan een aantal voorwaarden (zie KB), waaronder de aanwezigheid van een genetisch centrum, en moeten de zorg voor de patiënt organiseren volgens bepaalde voorwaarden (bv multidisciplinaire raadplegingen, deelnemen aan netwerk, etc, zie KB). Functies kunnen aangeduid worden als expertisecentrum voor een bepaalde zeldzame ziekte als de Functie bijkomend deelneemt aan internationale netwerken voor deze zeldzame ziekte en beschikt over geneesheren met expertise voor deze bepaalde zeldzame ziekte, en afspraken maakt met de andere Functies zeldzame ziekten over de verwijzing van patiënten met die bepaalde zeldzame ziekte. Aanduiding als expertisecentrum is ook mogelijk voor centra die niet erkend zijn als Functie zeldzame ziekten, mits een samenwerkingsakkoord met een Functie.

De erkenning van de ziekenhuizen met een dergelijke Functie zeldzame ziekten en van de Expertisecentra zal door de overheid worden opgestart, de lijst van deze centra is dus nog niet gekend. Alle erkenningen gebeuren door de Gemeenschappen/Gewesten.

GENETISCHE CENTRA

De 8 Belgische genetische centra zijn nauw betrokken bij de Expertisecentra en bij de Functie Zeldzame Ziekten. Zij maken ook deel uit van de Netwerken Zeldzame Ziekten. Zij staan in om de erfelijke aspecten van de ziekten en hun eventuele gevolgen voor de familie te bepalen.

De volledige lijst van de genetische centra in België vindt u [hier](#).

EXPERTISECENTRA

Ziekenhuizen die voldoen aan bepaalde kwaliteitsnormen, die beschikken over een bewezen omkadering en infrastructuur en die dus erkend zijn voor een Functie zeldzame ziekten, en die daarnaast een bewezen expertise hebben met betrekking tot een bepaalde zeldzame ziekte of groep van zeldzame ziekten, kunnen erkend worden als Expertisecentrum voor die ziekte of groep van ziekten. De erkenning van Ziekenhuizen tot Expertisecentrum is opgestart maar nog niet afgerond. Er bestaan nu al wel referentiecentra voor bepaalde zeldzame aandoeningen. Ook deze centra zullen zich moeten conformeren aan de nieuwe regelgeving met betrekking tot de erkenning tot expertisecentrum. Dit proces is nog aan de gang. De lijst van de huidige referentiecentra voor zeldzame ziekten vindt u [hier](#).

NATIONAAL REGISTER

Het Nationaal Register Zeldzame Ziekten wordt bijgehouden door het Wetenschappelijk Instituut Volksgezondheid (WIV). Medische gegevens van alle patiënten die gevolgd worden in de Netwerken zeldzame ziekten worden, mits toestemming van de patiënt, door de artsen geregistreerd in het Register. Op die manier kan méér en kwaliteitsvollere informatie worden verzameld over zeldzame ziekten in België. Het Register vormt op termijn ook een instrument dat patiënten toelaat om vlotter te kunnen deelnemen aan klinische testen van nieuwe geneesmiddelen en aan onderzoek naar hun ziekte.

ORPHANET

Orphanet is een internationale organisatie, deels gefinancierd door de EU, die een website onderhoudt waarop alle mogelijke informatie over Zeldzame Ziekten wordt bijgehouden en regelmatig bijgewerkt. Over elke zeldzame ziekte in de Orphanetlijst wordt informatie gegeven voor verschillende doelgroepen: medici en paramedici, patiënten, onderzoekers, de industrie...

Zo kan men bijvoorbeeld op zoek gaan naar erkende expertisecentra, patiëntenverenigingen, medicatie, en dergelijke meer. Binnen de meeste Europese landen is er een officiële vertegenwoordiging van Orphanet en bestaat er een lokale website met informatie over o.m. de dienstverlening voor zeldzame ziekten in dat land.

Voor België wordt de Orphanet site bijgehouden door het WIV in opdracht van de Minister van Volksgezondheid: <http://www.orpha.net/national/BE-NL/index/homepage/>. De internationale site van Orphanet: www.orpha.net.

PATIËNTENORGANISATIES

Patiëntenorganisaties kunnen de opvang van patiënten met zeldzame ziekten aanzienlijk verbeteren door actief deel te nemen aan overleg binnen de Netwerken zeldzame ziekten, en door aan de overheid eventuele problemen te signaleren inzake het functioneren van de verschillende structuren, de opvang van patiënten of de toepassing van de nieuwe wetten betreffende zeldzame ziekten. Door hun direct contact met patiënten zijn zij immers zeer goed geplaatst om problemen in de praktijk snel te constateren en mogelijks suggesties tot oplossing te formuleren naar het beleid toe. De deelname van patiëntenorganisaties aan het overleg binnen de Netwerken is wettelijk verplicht.

Overkoepelende patiëntenorganisaties waar u terecht kunt met vragen over zeldzame ziekten zijn:

RaDiOrg: www.radiorg.be

VPP: www.vlaamspatientenplatform.be

LUSS: www.luss.be

PRT: www.patientenrat.be

GEZONDHEIDSWERKERS 1STE LIJN

Huisartsen, paramedici, apothekers en andere spelers in de eerstelijnszorg voor patiënten met een zeldzame ziekte zullen deel uitmaken van de verschillende Netwerken zeldzame ziekten en de daar uitgewerkte zorgprogramma's. Op die manier zal aan elke patiënt de best aangepaste en internationaal erkende zorg kunnen worden geboden.

5. KAN MIJN ZIEKTE ERKEND WORDEN ALS ZELDZAME ZIEKTE?

Er is geen specifieke procedure of overheidsdienst die bepaalde ziekten als zeldzame ziekten kan erkennen. Wel bestaat er een lijst van alle zeldzame ziekten die in de EU voorkomen. Deze lijst is te vinden op de Belgische website van [Orphanet](http://www.orpha.net) of op de internationale site van Orphanet www.orpha.net. **Het is echter niet omdat een ziekte als Zeldzame Ziekten op de Orphanetlijst voorkomt, dat een patiënt ook automatisch van financiële of andere tegemoetkomingen kan genieten.**

Informatie over eventuele specifieke tegemoetkomingen voor bepaalde zeldzame ziekten kan u best opvragen via het ziekenfonds, bij een ziekenhuis met een erkende [Functie zeldzame ziekten](#) of in een [Expertisecentrum](#)

voor zeldzame ziekten. Ook patiëntenverenigingen beschikken vaak over uitgebreide informatie over mogelijke tegemoetkomingen. De erkenning van de ziekenhuizen met een dergelijke Functie zeldzame ziekten en van de Expertisecentra zal door de overheid worden opgestart, de lijst van deze centra is dus nog niet gekend.

Personen met een zeldzame aandoening komen mogelijk in aanmerking voor het Statuut chronische aandoening. De patiëntenverenigingen en ziekenfondsen kunnen hierover meer informatie geven (zie ook de vraag over het [Statuut chronische aandoening](#)).

6. WAT KAN IK VERWACHTEN VAN EEN GENETISCHE COUNSELING? EN WAT IS HET VERSCHIL TUSSEN EEN GENETISCHE COUNSELING EN EEN MULTIDISCIPLINAIRE CONSULTATIE?

Veel patiënten en hun familie komen in contact met een genetisch centrum. De lijst van de 8 erkende genetische centra in België vindt u [hier](#).

Dit is o.m. het gevolg van het feit dat de meeste zeldzame ziekten (80%) erfelijke ziekten zijn. De genetische centra zullen onderzoek doen naar een mogelijk defect in het DNA dat verantwoordelijk is voor de ziekte. Daarnaast zullen ze kijken naar het voorkomen van de ziekte in de familie, of er risico's zijn dat kinderen de ziekte zouden kunnen erven, of er een mogelijkheid bestaat van prenatale diagnose of van preventie. Deze verschillende onderzoeken worden tijdens de genetische raadpleging gepland. De **genetische counseling** is de bespreking van deze resultaten en van het familiaal voorkomen en de erfelijke risico's van de ziekte. De genetici kennen meestal ook **patiëntenverenigingen** naar wie ze nieuw gediagnosticeerde patiënten kunnen doorverwijzen voor nuttige informatie over de verschillende familiale of sociale aspecten van de ziekte.

Veel zeldzame ziekten kunnen problemen veroorzaken in verschillende organen. Daarom is het, naast de genetische counseling, ook belangrijk dat de patiënt wordt onderzocht door verschillende andere specialisten, zoals de kinderarts, de metabole arts, de oncoloog, de neuroloog, de chirurg, de radioloog enz. Alleen op deze manier kan men komen tot een correcte diagnose, behandeling en een voorstel voor de verdere optimale opvolging. Ook gespecialiseerde verpleegkundigen en kinesitherapeuten, ergotherapeuten, logopedisten, bandagisten, sociaal assistenten, voedingsdeskundigen, psychologen enz. kunnen een belangrijke bijdrage leveren tot deze multidisciplinaire aanpak. Indien er een vermoeden is van een erfelijke voorbeschiktheid of een erfelijk defect, zal de patiënt dan ook verwezen worden naar een genetisch centrum voor de hoger beschreven genetische raadpleging. De onderzoeken van en het overleg tussen alle specialisten en zorgverleners noemt men de **multidisciplinaire raadpleging**.

Soms wordt de patiënt door verschillende specialisten tijdens eenzelfde raadpleging gezien, soms moet de persoon terugkomen omdat er een gespecialiseerd onderzoek moet uitgevoerd worden waarvoor de patiënt bijvoorbeeld nuchter moet zijn. In elk geval worden alle resultaten van onderzoeken in hetzelfde multidisciplinair dossier ingevoerd en wordt door de betrokken specialisten, na overleg met alle betrokkenen, beslist over de optimale opvolging voor die persoon.

7. WAT IS DE TAAK VAN EEN ZORGCOÖRDINATOR?

DE ZORGCOÖRDINATOR

Actie 7 uit het 'Belgisch Plan voor Zeldzame Ziekten' stelt dat in de op te richten expertisecentra voor zeldzame ziekten¹ een zorgcoördinator zal aangesteld worden die als taak heeft **het parcours van de patiënt te vereenvoudigen en vergemakkelijken**. De zorgcoördinator is verantwoordelijk voor een goede organisatie en planning van alle medische en niet-medische zorg, maar zal de patiënt daarnaast ook ondersteunen bij de verschillende administratieve procedures die doorlopen moeten worden om te verkrijgen waar de patiënt recht op heeft.

Om zijn taak te kunnen uitoefenen, zal de zorgcoördinator dus de nodige contacten moeten uitbouwen, zodat de patiënt door de juiste diensten geholpen wordt en de nodige hulpmiddelen ter beschikking krijgt. Om dit goed te kunnen doen zal er een netwerk uitgebouwd moeten worden tussen zorgverleners van de eerste lijn en de expertisecentra. Onder zorgverleners van de eerste lijn verstaan we o.a. huisartsen, kinesisten, logopedisten, apothekers, tandartsen,...

Concreet heeft de zorgcoördinator de volgende opdrachten:

- hij/zij bezorgt de patiënt de **nodige informatie**: hij is het scharnierpunt tussen de patiënt en alle medische, paramedische of psychosociale zorgverleners;
- hij/zij bevordert met betrekking tot de zorg aan de patiënt en zijn familie, de **verbinding tussen het centrum en het netwerk ontwikkeld door het centrum**, maar ook de banden met de **lokale zorgdiensten, lokale specialisten, huisartsen,...** om zo de kwaliteit van zorg te kunnen garanderen en een zorgplan te kunnen opstellen;
- hij/zij bevordert de **contacten met de patiëntenorganisaties**;
- hij/zij zorgt ervoor dat de **patiënt gebruik kan maken van alle rechten die hem/haar toekomen**: hij/zij staat hiervoor in contact met de ziekenfondsen en met alle administraties die betrokken zijn bij het medische en sociale statuut van de patiënt.

¹Actie 11 uit het Belgisch Plan Zeldzame Ziekten

8. WAT BETEKENT HET STATUUT CHRONISCHE AANDOENING EN WAT HOUDT HET IN VOOR PERSONEN MET EEN ZELDZAME AANDOENING?

Het Plan Chronische Ziekten voorziet in een specifiek statuut voor wie aan een chronische aandoening lijdt. Wie dit statuut toegekend krijgt, kan aanspraak maken op een aantal specifieke rechten. In de praktijk zijn heel veel zeldzame aandoeningen chronisch. Daarom zijn er in het Statuut voor Persoon met een chronische aandoening bijkomende bepalingen voorzien voor personen met een zeldzame aandoening.

Er wordt een onderscheid gemaakt tussen het openen van het recht op het Statuut chronische aandoening en het verlengen daarvan. Voor wie het statuut reeds heeft gelden namelijk minder strenge regels om het te verlengen dan voor wie het statuut voor de eerste keer toegekend krijgt.

Positief is dat het statuut Statuut chronische aandoening grotendeels automatisch wordt toegekend. Je ziekenfonds beschikt over alle nodige gegevens om na te kijken of je er recht op hebt, waardoor je zelf dus geen aanvraag moet indienen. Momenteel zijn alle ziekenfondsen volop bezig met het screenen van hun leden en zal je een brief ontvangen indien je recht hebt op het statuut.

STATUUT CHRONISCHE AANDOENING

Het recht openen

Het recht openen wil zeggen dat je het statuut voor de eerste keer toegekend krijgt. Volgende groepen van personen kunnen het recht openen en zullen het statuut automatisch toegekend krijgen door hun ziekenfonds:

- **personen met hoge (en chronische) medische kosten.** Hiervoor moet je gedurende acht opeenvolgende kwartalen (twee kalenderjaren) elk kwartaal €300 aan door het RIZIV gedragen medische kosten hebben. In tegenstelling tot de maximumfactuur (MAF) gaat het hier om het volledige bedrag van de kosten en dus niet enkel om het remgeld. Zowel het stuk dat wordt terugbetaald door de ziekteverzekering als het stuk dat je als patiënt zelf moet betalen (het remgeld) wordt dus meegerekend. Opgelet: dit houdt in dat kosten waarbij de ziekteverzekering niet tussenkomt ook niet meetellen in deze berekening.
- een tweede mogelijkheid is **recht hebben op het zorgforfait.** Dit is een tegemoetkoming van het ziekenfonds die toegekend wordt aan personen met hoge medische kosten en een hoge graad van hulpbehoefendheid. Wie het zorgforfait krijgt, zal dus automatisch ook het statuut chronische aandoening toegekend krijgen.

In de twee bovenstaande gevallen wordt het statuut geopend voor een periode van twee jaar. De regelgeving rond het statuut werd van kracht met terugwerkende kracht tot 1 januari 2013. Of je al dan niet in aanmerking komt voor het openen van het recht op het statuut, hangt af van de medische kosten of zorgforfaits die je in de twee vorige jaren hebt gemaakt. Er zal dus gekeken worden naar je medische kosten of zorgforfaits van 2011 en

2012. De rechten die verbonden zijn aan het statuut (zie verder: 'Wat houdt het statuut in?') zullen dan ook met terugwerkende kracht toegekend worden. Na die twee eerste jaren kan het recht op het statuut verlengd worden.

Het recht verlengen

Wanneer de eerste periode van twee jaar afloopt, zal je ziekenfonds automatisch controleren of je recht hebt op een verlenging van het statuut. Een verlenging geldt telkens voor een jaar. Wie het zorgforfait ontvangt kan het recht op het statuut sowieso verlengen. Voor wie het statuut kreeg op basis van zijn medische kosten (acht opeenvolgende kwartalen €300) worden de voorwaarden enigszins versoepeld. Je hoeft namelijk niet langer elk kwartaal €300 aan medische uitgaven te hebben, een totaal van €1200 aan medische kosten tijdens het tweede jaar voorafgaand aan het jaar van de verlenging volstaat.

Deze versoepeling van het financiële criterium lijkt misschien een detail, maar kan een enorm verschil maken voor personen met fluctuerende medische kosten. Sommige chronisch zieken kunnen bijvoorbeeld een plotse opstoot krijgen van hun aandoening en in een korte periode meer dan €1200 moeten uitgeven aan medische zorg. Door de versoepeling zullen ook zij het statuut dus toch kunnen behouden.

Voor personen met onregelmatige medische kosten blijft het evenwel heel moeilijk om het statuut te openen. Dit belangrijk knelpunt wordt zeker meegenomen in de evaluatie van het statuut die uitgevoerd zal worden door het Observatorium voor de Chronische Ziekten.

BIJKOMENDE BEPALINGEN VOOR PERSONEN MET EEN ZELDZAME ZIEKTE

Het recht openen

Voor personen met een **zeldzame ziekte** werd een bijkomend voordeel ingevoerd. Indien zij voldoen aan de eerste voorwaarde (acht kwartalen met elk kwartaal € 300 aan door het RIZIV gedragen medische kosten) krijgen ze automatisch het statuut toegekend voor twee jaar. Wanneer ze bovendien een attest kunnen voorleggen waaruit blijkt dat ze aan een zeldzame ziekte lijden, krijgen ze het recht niet voor twee maar voor vijf jaar toegekend. Je ziekenfonds brengt je sowieso op de hoogte wanneer je het statuut hebt geopend op basis van het financiële criterium en als je daarna een attest indient, wordt het statuut verlengd voor een periode van vijf jaar. Je hoeft op voorhand dus nog niets te ondernemen.

Het attest Zeldzame Ziekte moet worden ingevuld door een geneesheer-specialist en [kan gedownload worden via deze link](#).

Het recht verlengen

Ook voor personen met een **zeldzame ziekte** gelden meer soepele voorwaarden bij de verlenging van het statuut. Het volstaat om in het laatste jaar voor een eventuele verlenging opnieuw een attest van zeldzame ziekte in te dienen bij het ziekenfonds, waarna het recht opnieuw verlengd wordt voor vijf jaar. Aan de financiële voorwaarde van €300 per kwartaal of €1200 per jaar moet niet langer voldaan worden, een geldig attest is voldoende.

WELKE VOORDELEN ZIJN ER GEKOPPELD AAN HET STATUUT CHRONISCHE AANDOENING?

Het statuut is bedoeld als een manier om voordelen specifiek toe te kennen aan chronisch zieken. Momenteel zijn er slechts twee maatregelen verbonden aan dit nieuwe statuut, maar het is de bedoeling om dit verder uit te breiden in de toekomst. Wie recht heeft op het statuut krijgt momenteel automatisch volgende voordelen toegekend: de maximumfactuur en de derdebetalersregeling.

De maximumfactuur (MAF) voor chronisch zieken²

De MAF houdt in dat je elk jaar slechts een bepaald bedrag aan remgeld moet betalen. Wanneer je kosten deze grens overschrijden, zal je ziekenfonds voor de rest van het jaar alle remgelden terugbetalen. Bij personen die recht hebben op de MAF chronisch zieken wordt het grensbedrag verlaagd met €100. Dit wil zeggen dat ze elk jaar €100 minder moeten betalen aan remgeld en dat de MAF dus vroeger in werking treedt. Wie recht heeft op het statuut krijgt ook automatisch recht op de MAF chronisch zieken en zal ook genieten van dus deze vermindering van €100 op het grensbedrag.

Automatische toepassing van de derdebetalersregeling

Deze maatregel houdt in dat je zelf enkel het remgeld moet betalen en niet langer het bedrag moet voorschieten dat later terugbetaald wordt door het ziekenfonds. Personen die recht hebben op het statuut chronische aandoening zullen – in principe maar dit is onder voorbehoud - in de loop van 2015³ recht krijgen op een automatische toepassing van de derdebetalersregeling. Momenteel kan iemand met het statuut wel reeds vragen aan zijn arts of tandarts om de derdebetalersregeling toe te passen.

Meer informatie

Voor meer details (bv.: Komt mijn zeldzame ziekte in aanmerking? Wordt een incontinentieforfait meegerekend voor de €300 per kwartaal?) of andere vragen kan je terecht bij je ziekenfonds. Ook de patiëntenverenigingen en de koepels van patiëntenverenigingen Vlaams Patiëntenplatform, LUSS en RaDiOrg beschikken over heel wat informatie en proberen graag een antwoord te zoeken op je vragen. Maar alleen het ziekenfonds kan nakijken of je al dan niet recht hebt op het statuut.

² Naast het statuut chronische aandoening wordt de MAF chronisch zieken momenteel ook reeds toegekend aan personen die twee opeenvolgende jaren €450 uitgaven aan remgeld. Wie op deze manier al recht heeft op de korting van €100 op het grensbedrag, zal geen bijkomende korting van €100 meer krijgen indien ook voor hen het statuut chronische aandoening wordt geopend. Het gaat immers niet om de creatie van een nieuw voordeel, het statuut biedt enkel een extra toegang tot het reeds bestaande voordeel van de MAF chronisch zieken.

³ Deze maatregel wordt pas vanaf 2015 aan het statuut verbonden omdat er nog enkele afspraken gemaakt moeten worden over de precieze toepassing van dit recht

Vaak gestelde vragen door patiënten in verband met het Statuut chronische aandoening

Aan wie moet het medisch attest overhandigd worden in het geval er sprake is van een zeldzame ziekte?

Het medisch attest moet overhandigd worden aan de adviserend geneesheer van het ziekenfonds waarbij je bent aangesloten. Als je niet weet hoe je dit moet doen, neem je best even contact op met je ziekenfonds.

Wanneer moet het medisch attest ingediend worden indien er sprake is van een zeldzame ziekte?

Voor het tijdstip waarop het medisch attest overhandigd dient te worden, is het belangrijk om op te merken dat er een verschil is tussen het openen en verlengen van het statuut:

- Bij het **openen van het statuut** dient het medisch attest ingediend te worden tijdens het eerste jaar waarin het statuut van kracht is. Bijvoorbeeld: op basis van het financiële criterium wordt het statuut voor je geopend voor de periode 2014-2015. Om het recht voor 5 jaar toegekend te krijgen, moet je dan het medisch attest in de loop van 2014 indienen bij je ziekenfonds.
- Bij het **verlengen van het statuut** moet je het medisch attest indienen in het laatste jaar voor een eventuele verlenging. Als het statuut bijvoorbeeld geopend is voor de periode 2014-2018, dan moet je in de loop van 2018 het attest opnieuw indienen, waarna het recht opnieuw verlengd wordt voor de periode 2019-2023.

Wie moet het medisch attest overhandigen indien er sprake is van een zeldzame ziekte?

Het medisch getuigschrift kan je ofwel zelf indienen bij je ziekenfonds ofwel kan de geneesheer-specialist dit in jouw plaats doen. Je maakt hierover best duidelijke afspraken met je behandelende geneesheer-specialist.

Wie wordt er beschouwd als een geneesheer-specialist?

Hierover is momenteel nog onduidelijkheid, aangezien dit niet gespecificeerd staat in de wet. Tot op heden wordt er van uitgegaan dat elke behandelende arts die zo'n medisch attest indient en kan aantonen dat hij over de nodige expertise beschikt, beschouwd wordt als geneesheer-specialist. Hoe, wanneer en tegenover wie de geneesheer-specialist kan aantonen dat hij over de nodige expertise beschikt is momenteel nog niet duidelijk.

Waar vind ik het medisch attest in het geval er sprake is van een zeldzame ziekte?

Het medisch attest kan gedownload worden op de website van het RIZIV [via deze link](#).

9. WAT ZIJN KLINISCHE STUDIES EN WIE KAN ER AAN DEELNEMEN?

Vooraleer een geneesmiddel op de markt komt, moet het eerst uitvoerig getest worden, zodat de veiligheid en werkzaamheid van het middel optimaal gewaarborgd is. Bij de ontwikkeling van een nieuw geneesmiddel zal men bijvoorbeeld eerst experimenten uitvoeren bij dieren, vooraleer het uitgetest wordt bij mensen. Pas nadat men hierbij nagegaan is hoe giftig het middel is, wat er in het lichaam gebeurt en hoe de opname en afbraak verloopt, zal men in een volgende fase het middel uittesten bij mensen in zogenaamde klinische studies.

Patiënten met een bepaald ziektebeeld kunnen deelnemen aan een klinische studie wanneer ze voldoen aan bepaalde criteria die hen tot de studie toelaten (inclusiecriteria) en niet beantwoorden aan de criteria die de uitsluiting vereisen (exclusiecriteria). Voorbeelden hiervan zijn de leeftijd, het hebben van verschillende ziektes op hetzelfde tijdstip en dergelijke meer. Deze criteria zijn opgesteld om de betrouwbaarheid van resultaten zo hoog mogelijk te maken.

Een nieuw geneesmiddel beschikbaar maken voor patiënten is het resultaat van een lang en complex proces dat verschillende stappen doorloopt :

1. Niet-klinische studies

Dit betreft het bestuderen op cellen (in vitro) en eventueel bij dieren van een geneesmiddel, ontwikkeld op een wetenschappelijke basis, om de werkingswijze en toxiciteit te bepalen.

2. Klinische studies

Als na deze niet-klinische studies, het geneesmiddel interessant blijkt en als de verhouding tussen de baten en de risico's overhelt in het voordeel van de baten, kunnen studies bij de mens uitgevoerd worden.

Het proces van klinische studies bestaat uit vier fases. Deze moeten opeenvolgend uitgevoerd worden.

- **Fase I:** het geneesmiddel wordt aan een klein aantal gezonde vrijwilligers (maximum een twintigtal) toegediend om de optimale dosering te bepalen, om zijn tolerantie en mogelijke toxiciteit te testen.

- **Fase II:** het geneesmiddel wordt aan een vooraf bepaald aantal patiënten toegediend onder welomschreven voorwaarden om zijn doeltreffendheid te testen en zijn bijwerkingen te identificeren.

- **Fase III:** het geneesmiddel wordt aan een groter aantal patiënten (tot enkele duizenden) toegediend om de verhouding tussen baten en risico's te bevestigen en zijn effecten ten opzichte van bestaande geneesmiddelen of een placebo te bestuderen.

- **Fase IV:** het geneesmiddel is gecommercialiseerd en de bijwerkingen worden van nabij opgevolgd: dit is de rol van de geneesmiddelenbewaking. Testen over de veiligheid en de doeltreffendheid op langere termijn kunnen desgevallend door de vergunninghouders van geneesmiddelen worden gehouden.

Het doorlopen van de eerste 3 fasen (eerste test op de mens tot commercialisatie) kan 10 jaar duren. Het doorlopen van verschillende fases is noodzakelijk om zowel de doeltreffendheid als de tolerantie van een nieuw geneesmiddel te waarborgen.

Een studie met een nieuw geneesmiddel kan pas doorgaan nadat de goedkeuring is bekomen van een ethisch comité verbonden aan een ziekenhuis waar de studie doorgaat én na de goedkeuring van het Federaal Agentschap voor Geneesmiddelen en Gezondheidsproducten voor de studies die in België plaatsvinden. Studies van fase II, III en IV worden na de beide goedkeuringen publiek bekend gemaakt via het Europese register voor klinische studies :

<https://www.clinicaltrialsregister.eu>

In het geval van **zeldzame ziekten** is het natuurlijk ook een gegeven dat er maar een beperkt aantal patiënten zijn met de ziekte, en dat er in vele gevallen geen bestaande behandeling is. Klinische studies m.b.t. zeldzame aandoeningen moeten dan ook zodanig worden opgezet dat ze flexibel genoeg zijn om rekening te houden met de beperkingen, zonder afbreuk te doen aan de veiligheid van de deelnemer of de kwaliteit van de gegevens. Voor firma's die dergelijk onderzoek opzetten, voorziet de wetgeving ook in een aantal voordelen (bijvoorbeeld begeleiding bij het ontwerpen van de studie).