



**Forum
& Biotechnologie
& Genetica**

NIEUWSBULLETIN

Maart 2008, Jaargang 6, nummer 1

Forum Biotechnologie en Genetica

Voorzitter: Drs. D.J.D. Dees
Secretariaat: Dr. G. L. Engel, Dr. P. A. Bolhuis en Dr. M. van der Graaff
Postbus 93245
2509 AE Den Haag
Tel: 070 – 349 5139, fax: 070 – 349 53 93, site: www.forumbg.nl

COLOFON

Ingezonden stukken voor het Nieuwsbulletin van het Forum Biotechnologie en Genetica (FBG) kunnen per e-mail worden gezonden naar de redactie (pabolhuis@kpnplanet.nl), telefonisch te bereiken onder nummer 038-3334657.

Van de voorzitter

Het FBG fungeert al enige jaren als klankbord voor beroeps- en patiëntenorganisaties op het gebied van biotechnologie en genetica. In dit Nieuwsbulletin zijn de activiteiten van het FBG in het jaar 2007 samengevat en wordt de planning voor het jaar 2008 besproken.

Veel aandacht is het afgelopen jaar besteed aan de zorg voor patiënten met complexe genetische aandoeningen. Het is geen eenvoudige opgave om de diagnostiek, het overleg tussen verschillende specialisten en de zorg voor die patiënten adequaat te doen verlopen. Het FBG heeft onder de noemer Integrale zorg een projectplan opgesteld om die problemen beter in kaart te brengen.

Een belangrijk onderwerp is ook het bevolkingsonderzoek, in het bijzonder genetische screenings. Allerlei tests worden aan het publiek aangeboden, waarbij het internet een steeds grotere rol speelt. Het FBG heeft daarover een rapport opgesteld met de titel

Criteria voor bevolkingsonderzoek, dat ook ter kennis is gebracht aan de Gezondheidsraad en de

Raad voor Volksgezondheid en Zorg. In het rapport komt de wetgeving aan de orde, zijn nieuwe ontwikkelingen gesignaleerd en wordt de wenselijkheid van ruimte voor vrije keuzes benadrukt.

In het FBG worden regelmatig effecten van genen op de gezondheid besproken en in 2007 waren dat in het bijzonder genen die voor de psychiatrie relevant zijn, zoals in verband met depressies en verslavingen. Praktische toepassing van de onderzoeksresultaten op dit gebied zal naar verwachting nog wel enige jaren duren.

Voorts is het afgelopen jaar overlegd over de preconceptiezorg, mede naar aanleiding van een advies van de Gezondheidsraad. Adviezen over leefstijl, geneesmiddelen en genetische aandoeningen kunnen de kansen op een goed verlopende zwangerschap vergroten. Het FBG onderschrijft het belang van die advisering. Het FBG heeft ook in 2007 weer gesproken over de Europese samenwerking op het gebied van de zeldzame aandoeningen. De beschikbaarheid van gegevens over ziektebeloop en therapieën is vaak afhankelijk van een internationale aanpak. Initiatieven zoals Orphanet en Eurordis kunnen daaraan bijdragen.

Evenals in 2006 is de toegankelijkheid van

biomedische producten door het FBG positief beoordeeld, met een kanttekening over mogelijke verbetering. De activiteiten in het afgelopen jaar zijn hieronder weergegeven als Highlights 2007.

In het komend jaar zijn in het FBG de volgende onderwerpen aan de orde: de nanotechnologie, het vervolg van de 'Integrale zorg voor mensen met erfelijke aandoeningen met complexe symptomen', het onderzoek met embryonale stamcellen, de genetische diagnostiek, de bio-informatica, het vervolg van 'Toegankelijkheid van biomedische producten', en, zo mogelijk, een update op het gebied van de genterapie, verzekeringen en translationeel onderzoek. Ook nieuwe ontwikkelingen kunnen op de agenda komen. Onder Activiteiten 2008 wordt een toelichting op de genoemde onderwerpen gegeven.



Fauzia Khadjé en Cor Oostervijk tijdens de plenaire vergadering op 12 december 2007

Eind 2007 heeft het FBG afscheid genomen van de algemeen secretaris mevrouw Khadjé, die om persoonlijke redenen het dienstverband wilde beëindigen. Het FBG heeft veel waardering voor haar inzet en enthousiasme. Het verzorgen van de agenda en de vergaderruimte, het voeren van de (e-)correspondentie en in het bijzonder de werkgroep Integrale zorg waren bij haar in goede handen. Het FBG wenst haar een goede toekomst toe.

Highlights 2007 en activiteiten 2008

In het FBG wordt overleg gevoerd over biotechnologie en genetica door vertegenwoordigers van de industrie, patiëntenorganisaties, beroepsgroepen waaronder artsen, onderzoekers en verzekeraars, adviesorganen, regulatoire instellingen en publiek-

private partnerships. Aan het overleg wordt deelgenomen door waarnemers van ministeries, waardoor het FBG ook kan fungeren als een vraagbaak voor de overheid, in het bijzonder voor het ministerie van VWS.

Highlights 2007

In het FBG is in 2006 overlegd over verscheidene onderwerpen, waarbij veel aandacht is besteed aan de *zorg voor mensen met complexe genetische aandoeningen*. Doordat verschillende medische en paramedische disciplines bij die zorg betrokken zijn, treden in de praktijk soms lacunes in de zorg op. Ook de diagnostiek is niet eenvoudig. Onder de titel Integrale zorg heeft het FBG daarvoor eerder een signalement uitgebracht en in 2007 voorgesteld de problematiek beter in kaart te brengen. Ondertussen is daarmee met financiële steun van VWS een begin gemaakt. Aan de hand van een tweetal complexe aandoeningen zal gedetailleerd worden gerapporteerd over de problemen en mogelijke oplossingen, waarbij de eventuele rol van expertisecentra zal worden nagegaan.

Het FBG heeft verscheidene malen gesproken over *bevolkingsonderzoek*, onder meer in de maartvergadering waarin de voorzitter van de Gezondheidsraad, de heer Knottnerus, criteria voor bevolkingsonderzoek heeft toegelicht. Aan die vergadering is ook deelgenomen door de kamerleden mevrouw Gill'ard (PvdA), mevrouw van Miltenburg (VVD), mevrouw Palm (medewerker SP), mevrouw Schermers (CDA) en de heer Zijlstra (VVD). De heer Knottnerus hield de FBG-leden voor dat screening hoge kwaliteitseisen stelt en vroeg aandacht voor de samenhang van het collectieve aanbod, de spanning tussen algemene voorlichting en die aan de individuele patiënt, de toename in individuele voorkeuren, het meewegen van andere voordelen dan behandelbaarheid, en de afstemming op de zorgpraktijk. Het FBG heeft mede naar aanleiding daarvan een signalement opgesteld over de criteria voor bevolkingsonderzoek. Het signalement is in overleg met het ministerie van VWS ook toegezonden aan de Gezondheidsraad en de Raad voor Volksgezondheid en Zorg, die een advies over dit onderwerp voorbereiden. De huidige wetgeving inzake screening behoeft verbetering, zo zijn sommige criteria voor vergunningsplichtig bevolkingsonderzoek in de Wet Bevolkingsonderzoek arbitrair. Ook vraagt het FBG meer aandacht voor autonomie van de burger. Voor de toekomstige ontwikkeling van verschillende vormen van screening heeft dat belangrijke consequenties, zoals meer ruimte voor het screenen op onbehandelbare aandoeningen.

Die ruimte is bijvoorbeeld van belang voor de neonatale screening, en houdt ook in dat voor (aanstaande) ouders een adequaat programma wordt opgesteld voor screening op dragerschap van ernstige erfelijke aandoeningen.

De invloed van *genen en omgevingsfactoren* wordt in de media nog wel als een of/of probleem behandeld, hoewel het in de praktijk vrijwel steeds om een interactie gaat. Duidelijke voorbeelden zijn te vinden in de psychiatrie, waarvan in het FBG het optreden van depressies en verslavingen zijn besproken. Bepaalde vormen van diverse genen zijn daarvoor relevant, hetgeen meer inzicht geeft en leidt tot farmaceutisch onderzoek. Vooralsnog zijn de genetische bevindingen te weinig specifiek om bruikbaar te zijn voor diagnostiek.

Het onderwerp *preconceptiezorg* heeft een belangrijke impuls gekregen door een advies van de Gezondheidsraad dat in de novembervergadering van het FBG is besproken. In dat advies is de wetenschappelijke basis besproken van adviezen zoals 'niet roken' en 'geen alcohol'. Ook het eventuele risico van geneesmiddelen en arbeidsomstandigheden zijn genoemd, evenals het belang van informatie over genetische aandoeningen. Het FBG staat positief ten opzichte van de aanbevelingen van de raad, en zal op het onderwerp terugkomen naar aanleiding van de ministeriële reactie op het advies.

Het FBG vindt op het gebied van de *zeldzame aandoeningen* belangrijk dat er internationaal wordt samengewerkt. Uitwisseling van gegevens, bijvoorbeeld van expertisecentra, is vooral nodig voor ziektes met weinig patiënten. De Europese Commissie wil die samenwerking bevorderen, onder andere door nationale plannen en de ontwikkeling van richtlijnen te stimuleren. In Nederland zijn daarin, naast het ministerie van VWS, onder andere de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen, de VSOP en de Koepel Spierziekten geïnteresseerd. Het FBG volgt deze ontwikkelingen met veel belangstelling. Zo is gewezen op Orphanet, een Europees netwerk dat als doel heeft verbetering van de zorg bij zeldzame aandoeningen (met informatie over duizenden ziektes en vele testlaboratoria; www.orphanet.nl).

Het FBG heeft evenals in 2006 overlegd over de *toegankelijkheid van biomedische producten* en daarover aan het ministerie van VWS gerapporteerd. In grote lijnen is die toegankelijkheid in Nederland redelijk goed, maar enige verbeteringen zijn mogelijk. Zo is de vraag of de bestaande wetgeving niet te restrictief is voor onderzoek van geneesmiddelen bij kinderen. Aanbevolen is om mogelijk te maken dat het belang van nieuwe therapie wordt afgewogen

tegen de risico's en bezwaren van het onderzoek. In het bijzonder de eis in de huidige wetgeving dat de risico's die verwaarloosbaar zijn, behoeft wijziging, bijvoorbeeld in de eis dat de risico's aan het onderzoek zijn verbonden geminimaliseerd zijn. Het FBG heeft ook gewezen op beperkingen in de vergoeding die de toegankelijkheid zouden kunnen belemmeren, in het bijzonder van dure middelen in ziekenhuizen. Verder is opgemerkt dat het CCMO regels hanteert die niet stroken met Europese regelgeving. Van de nieuwe ontwikkelingen op het gebied van biomedische producten is in het signalement over de toegankelijkheid speciale aandacht besteed aan therapeutische vaccins (die het immuunsysteem tot directe actie aanzetten, in plaats van preventief zoals bij de gebruikelijke vaccins).

In het komend jaar zal het FBG meer aandacht besteden aan *nanotechnologie* en *bio-informatica*. Een begin werd al gemaakt in de februarivergadering met een presentatie over nanotechnologie door de heer Bijker, hoogleraar techniek en samenleving te Maastricht. Hij zette uiteen dat nanodeeltjes een impuls kunnen geven aan zelf-diagnoses en thuiszorg-technologie, en bepleitte een evenwichtige afweging van de kansen en risico's van deze nieuwe technologie. Over de toxiciteit is nog onvoldoende duidelijk en ook is onzeker of de bestaande regelgeving afdoende risicobeheersing oplevert.

Behalve over bovengenoemde highlights is in de FBG-vergaderingen van 2007 gesproken over diverse activiteiten van de aangesloten organisaties. Ook is veel informeel overleg gevoerd over kwesties op het werkkterrein van het FBG. Met haar zusterorganisatie SACGHS in de VS (Secretary's advisory committee on genetics, health and society) onderhield het FBG contact; commentaar is geleverd op het rapport 'Realizing the promise of pharmacogenomics: Opportunities and challenges' dat de SACGHS in 2007 heeft voorbereid.

Activiteiten 2008

Het FBG zal in 2008 haar functie als klankbord en vraagbaak voortzetten. Verscheidene onderwerpen zijn al ter bespreking voorgesteld; nieuwe ontwikkelingen zullen gevolgd worden, bijvoorbeeld naar aanleiding van de onderzoeksresultaten op het gebied van de *stamcellen*. Het lijkt mogelijk diverse lichaamcellen tot stamcellen om te vormen en die mogelijkheid biedt perspectief op celtherapieën (pluripotente stamcellen werden verkregen uit adulte menselijke fibroblasten door de onderzoeksgroep van Yakamana in Tokyo, zie Cell 131: 861-72). Ook nieuwe bevindingen in de

gentherapie komen op de agenda van het FBG. Een voorbeeld is het herstel van de aanmaak van dystrofine met een antisense oligonucleotide. In Leiden wordt dit door van Ommen en medewerkers ontwikkeld tot een therapie voor de ziekte van Duchenne, zie N Engl J Med. 357:2677-86. Verder is afgesproken om aandacht te geven aan de *genetische diagnostiek*. Het gaat daarbij om een overzicht van de diagnostische mogelijkheden, welke problemen er zijn, en -eventueel- welke maatregelen ter verbetering veldpartijen en/of overheid zouden kunnen nemen. Een werkgroep van het FBG heeft hierover een signalement opgesteld. Zoals al vermeld staan ook de *nanotechnologie* en *bio-informatica* op de agenda. Voor 2008 is verder afgesproken met het ministerie van VWS dat over de *toegankelijkheid van biomedische producten* wordt gerapporteerd. Eerdere rapportage is te vinden op www.forumbg.nl/documenten. Op verzoek van FBG-leden zal geprobeerd worden ruimte te maken voor de bespreking van *genetica en verzekeringen* en van *translationeel onderzoek*.

Nieuws

BioFarmind / Dutch Vaccines

Group BioFarmind en de Dutch Vaccines Group organiseerden een bijeenkomst over therapeutische vaccins. Behalve voor preventie kan vaccinatie therapeutisch worden toegepast om het immuunsysteem te activeren tegen zieke cellen. Die mogelijkheid is in de laatste jaren uitgewerkt voor toepassing in de praktijk, in het bijzonder in de oncologie.

Gezondheidsraad In september 2007 publiceerde de raad een advies getiteld 'Preconceptiezorg: voor een goed begin', waarin een algemeen programma voor preconceptiezorg wordt bepleit. In december volgde het 'Jaarbericht bevolkingsonderzoek 2007: zelftests op lichaamsmateriaal', tests die passen in de ontwikkeling waarbij het recht op zelfbeschikking het uitgangspunt is. Voorwaarde is dan wel dat adequate informatie beschikbaar is.

KNAW De KNAW maakt van 2008 een bruisend feestjaar naar aanleiding van haar tweehonderdjarig bestaan. Het hele jaar zijn er lezingen en symposia, evenementen en experimenten; zie www.knaw200.nl.

NACG/G Gezien internationale ontwikkelingen is de naam zodanig veranderd dat Community Genetics en Public Health Genomics beide aandachtsgebied van de NACG zijn. De nieuwe naam van de NACG zal luiden: Nederlandse Associatie voor Community Genetics en Public Health Genomics (NACG/G) De 'G' staat hierbij voor: Public Health Genomics.

RIVM De CHOPIN studie (Cystic fibrosis Hiepruk Onderzoek bij Pasgeborenen In Nederland) is een pilotstudie waarbij gedurende het jaar 2008 twee screeningsmethoden met elkaar worden vergeleken. Het onderzoek wordt uitgevoerd in de provincies Gelderland, Limburg, Noord-Brabant en Utrecht. Na analyse van de resultaten van 2008 zal het ministerie van VWS een besluit nemen betreffende landelijke invoering van deze screening.

Stuurgroep

Weesgeneesmiddelen Vrijdag 29 februari 2008 wordt in heel Europa aandacht gevraagd voor mensen met een zeldzame aandoening. Omdat mensen met een zeldzame aandoening nog te vaak buiten de boot vallen is die dag uitgeroepen tot Zeldzame ziekte dag.

VSOP De patiëntenorganisatie VSOP is gestart met een project voor de ontwikkeling en implementatie van zorgstandaarden voor zeldzame aandoeningen. Hiermee kunnen organisaties zich sterk maken voor kwaliteitsverbetering van de zorg voor hun zeldzame aandoening. Het project wordt samen met de Vereniging Volwassenen en Kinderen met Stofwisselingsziekten (VKS) uitgevoerd en gefinancierd door het Fonds PGO.

VWS over de Wet medische keuringen

Uit het evaluatieonderzoek dat onder leiding van ZonMw is uitgevoerd komt naar voren dat de Wmk in veel gevallen een redelijk goede rechtsbescherming biedt aan mensen die gekeurd moeten worden. Verbeterpunten betreffen de verduidelijking van de regelgeving, het in overeenstemming brengen van de verschillende regels met de Wmk, vergroting van de bekendheid van de wet en van de Commissie klachtenbehandeling aanstellingskeuringen.

ZonMw Begin 2008 voert ZonMw een verkenning uit naar aandachtsgebieden voor het stimuleren van adult stamcelonderzoek.