

Forum Biotechnologie en Genetica

Voorzitter: Drs. D.J.D. Dees
Secretariaat: Dr. G. L. Engel, Dr. P. A. Bolhuis en Dr. P.J.A. Bertens
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),

Van de voorzitter

Het FBG fungeert al vele 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 2008 samengevat en wordt de planning voor het jaar 2009 besproken.

In het afgelopen jaar zijn veel onderwerpen op het gebied van biotechnologie en genetica in plenaire vergaderingen behandeld. In werkgroepen is overlegd over genetische diagnostiek, bevolkingsonderzoek, en de zorg voor patiënten met complexe genetische aandoeningen.

Genetische diagnostiek is in Nederland in de regel adequaat, maar verbeteringen zijn mogelijk door in de opleiding van artsen meer ruimte aan deze diagnostiek te geven en door meer voorlichting aan het publiek te verstrekken. Deze conclusies zijn toegelicht in een signalement van het FBG aan het ministerie van VWS, dat ook aan de betrokken beroepsgroepen is voorgelegd.

Over *bevolkingsonderzoek* is in het FBG benadrukt dat burgers, mits aan alle zorgvuldigheidsvoorwaarden wordt voldaan, meer gelegenheid dienen te krijgen om hun eigen keuzes te maken in een genuanceerd screeningsaanbod. De Wet bevolkingsonderzoek zou dienovereenkomstig

moeten worden herzien. Voorts verdient de beschikbaarheid van screenings aandacht evenals, ook hier, adequate publieksinformatie. Deze standpunten zijn weergegeven in brieven aan de Gezondheidsraad en de Raad voor Volksgezondheid en Zorg in verband met hun advisering aan VWS over de criteria voor bevolkingsonderzoek. Ook de rapportage van het Centre for Genomics & Society is bediscussieerd.

Besprekingen van de *integrale zorg* voor patiënten met complexe genetische aandoeningen hebben geleid tot aanbevelingen over het opstellen van richtlijnen, het coördineren van de zorg, het instellen van expertisecentra en de financiering van ketenzorg. Deze aanbevelingen staan in een signalement aan het ministerie van VWS, en zijn ook ter kennis gebracht aan de betrokken veldpartijen.

In de plenaire vergaderingen is enkele malen gesproken over *weesziekten*, onder meer over de beleidsvorming in de EU en de ontwikkeling van weesgeneesmiddelen. *Kennisvalorisatie*, als zodanig voor het FBG een nieuw onderwerp, is zowel aan de orde geweest in het perspectief van de industrie (in casu Philips) en van het Center for Translational Molecular Medicine als vanuit een UMC (in casu VUmc).

Voorts is in de vergaderingen van het FBG aan de hand van rapportages en presentaties van experts overlegd over het dierproevenbeleid, de cardiogenetica, de nanotechnologie, de Trendanalyse biotechnologie en het advies Synthetische biologie.

In 2009 zal naar verwachting een deel van deze onderwerpen, zoals bevolkingsonderzoek, weesziekten, kennisvalorisatie en integrale zorg, opnieuw ter sprake komen. Ook preconceptiezorg, biobanken en personalized medicine zullen worden geagendeerd. Zo mogelijk zullen nieuwe ontwikkelingen op het gebied van regeneratieve geneeskunde en de bio-informatica aan de orde komen.



Martin van der Graaff tijdens de plenaire vergadering op 7 februari 2008

Het FBG heeft in 2008 afscheid genomen van de heer van der Graaff die een betrekking aanvaardde bij de Commissie Farmaceutische Hulp van het CVZ. De heer van der Graaff heeft zich met veel plezier en enthousiasme ingezet voor het FBG, als secretaris én als vertegenwoordiger van Nefarma. Hij is door velen geprezen vanwege zijn integriteit in deze dubbelfunctie en zijn veelzijdigheid die onder andere bleek in zijn vele bijdragen aan discussies in het FBG. Voorbeelden zijn te vinden in de discussies over het patenteren van genproducten en recent over de dierproefacties en de mogelijke komst van personal health management centers (combinaties van pc en testlab). Het FBG heeft de plezierige wijze van omgang met de heer van der Graaff zeer gewaardeerd en wenst hem veel succes in zijn nieuwe functie bij het CVZ.

Highlights 2008 en activiteiten 2009

In het FBG wordt overleg gevoerd over biotechnologie en genetica door vertegenwoordigers van patiëntenorganisaties, beroepsgroepen waaronder artsen, onderzoekers en verzekeraars, de

biofarmaceutische industrie, 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 2008

Diagnostiek van genetische aandoeningen is in Nederland over het algemeen goed geregeld, aldus een signalement van het FBG in 2008. Een breed spectrum van erfelijke ziektes kan worden gediagnostiseerd, meestal binnen een redelijk tijdsbestek. Wel zijn verbeteringen mogelijk, bijvoorbeeld door in de opleiding van artsen meer aandacht te besteden aan nieuwe ontwikkelingen, door voorlichting aan het publiek over de betekenis van familiale aandoeningen en door meer communicatie tussen verschillende (sub)specialismes. Het signalement is naar VWS gestuurd, maar ook ter kennis gebracht aan universitaire opleidingsinstellingen en het NHG.

Het FBG heeft voorts gesproken over *bevolkingsonderzoek*, en beveelt aan om meer ruimte te geven aan autonomie van de burger. Op voorwaarde dat zij beschikken over goede informatie over het screeningsaanbod, zouden burgers meer gelegenheid kunnen krijgen om hun eigen keuzes te maken. Het FBG bepleit mede daarom de ombuiging van de Wet Bevolkingsonderzoek in een meer flexibel instrument, dat de burger beter kan beschermen tegen risico's op het gebied van screeningen en tevens meer plaats inruimt voor autonomie. Adequaat aanbod van screening in de reguliere gezondheidszorg is op zich belangrijk, maar kan ook onverantwoord gebruik van ander aanbod tegengaan.

De zorg voor mensen met complexe genetische aandoeningen staat al enige jaren op de agenda van het FBG. In 2008 is aan de hand van een tweetal complexe aandoeningen, neurofibromatose en cystic fibrosis, in detail gerapporteerd over de problemen en mogelijke oplossingen (zie het signalement *Integrale zorg voor mensen met erfelijke aandoeningen met complexe symptomen II*). Uit de rapportage blijkt dat richtlijnen belangrijk zijn om tot integrale zorg te komen. Ook is gebleken dat de coördinatie van die zorg in de praktijk te wensen over laat. Het instellen van expertisecentra kan bijzonder waardevol zijn voor de verbetering van zorg en coördinatie, en bovendien voor het bevorderen van onderzoek. Het verdient aanbeveling dat professionals en patiëntenorganisaties overleg voeren, zowel over het opstellen en nakomen van richtlijnen als over het coördineren van de zorg en de instelling van expertisecentra. Voor de regionale indeling van die centra is overleg tussen academische centra gewenst. Overleg tussen het ministerie van VWS en de zorgverzekeraars is nodig omdat het huidige

financieringssysteem niet goed aansluit op integrale zorg.

Verschillende aspecten van het onderwerp *weesziektes* zijn plenair besproken. Zo is in 2008 een door de EU aangekondigde 'Communication' betreffende weesziektes behandeld en is gediscussieerd over rapporten van de VSOP over expertteams en zorgstandaarden. Ook de activiteiten van de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen en het Erfocentrum zijn voor het voetlicht geweest.

Behalve over bovengenoemde highlights is in de vergaderingen van 2008 gesproken over de instelling van het Durrer Instituut voor Cardiogenetica, de mogelijkheden en risico's van nanoprodukten, het dierproevenbeleid, de Trendanalyse biotechnologie, met een opsomming van nieuwe trends en problemen van die technologie, en is de aandacht gevestigd op het belang van patenten op het gebied van de synthetische biologie.

Een delegatie van het FBG bracht in 2008 een door Biofarmind georganiseerd bezoek aan Schotland, waar overlegd werd over de aldaar energiek aangepakte biotechnologie, de genetische diagnostiek en de verzekeringsproblematiek bij erfelijke aandoeningen.

Met het ministerie van VWS is afgesproken ook een kwantitatief overzicht van de activiteiten te geven, met een aantal vastgelegde indicatoren. Voor 2008 zijn de getallen als volgt:

Indicatoren FBG 2008

1. Plenaire vergaderingen

1a. het aantal vergaderingen en gemeenschappelijke bijeenkomsten. Vijf vergaderingen (7-2, 10-5, 11-6, 11-9, 4-12); één bijeenkomst (10-13 november).

1b. het aantal en de achtergrond van de deelnemers aan die vergaderingen en gemeenschappelijke bijeenkomsten. Deelnemers 19 (7-2), 19 (10-4), 26 (11-6), 18 (11-9), 18 (4-12); 5 (10-13 november). Achtergrond: beroepsgroepen (genetica, biofarmacie, pediatrie), patiëntenorganisaties, verzekeraars, adviesorganen, waarnemers ministeries, gasten.

2. Informatie leden en specifieke doelgroepen

2a. het aantal mededelingen, brieven, signalen, signalementen en nieuwsbulletins dat op het open deel van de website is geplaatst. Acht brieven en het Nieuwsbulletin met het jaaroverzicht 2007.

2b. aantal hits op de open pagina. De website is in 2008 ong. 29.000 keer bezocht. Daarbij zijn ong. 87500 pagina's gelezen en 139.000 bestanden gedownload. Het totale aantal hits ligt omstreeks 180.250.

2c. het aantal mededelingen, brieven, signalen, signalementen en nieuwsbulletins dat op het gesloten deel van de website is geplaatst. Twee signalementen (Diagnostiek van genetische aandoeningen, en Integrale zorg voor mensen met erfelijke aandoeningen met complexe symptomen II), één rapport en de brieven die ook op het open deel geplaatst zijn. Het aanvankelijk als signalement bedoelde rapport Criteria voor bevolkingsonderzoek is op verzoek van VWS als brief naar de Gezondheidsraad en de Raad voor Gezondheidsonderzoek gezonden.

3. Werkgroepen

3a. het aantal werkgroepen. Drie (Bevolkingsonderzoek, Vervolg integrale zorg, Genetische diagnostiek)

3b. het aantal afgegeven signalementen. Twee (zie 2c).

Activiteiten 2009

Ook in 2009 zal het FBG dienen als platform waar instellingen die zich met biotechnologie en genetica bezighouden, elkaar informeren over nieuwe ontwikkelingen. Ook het signaleren van problemen behoort tot de taken, waarbij overlegd wordt over mogelijke oplossingen. Voor de betrokken ministeries dient het FBG als klankbord, maar ook als vraagbaak. Verscheidene onderwerpen zijn al ter bespreking voorgesteld, zoals een eventueel nationaal plan weesziektes (naar aanleiding van een verzoek van de EU), de preconceptiezorg (waarbij een vraag is of een decentrale aanpak effectief is), en de cardiogenetica (waar DNA-onderzoek diverse resultaten heeft opgeleverd die van belang zijn voor de diagnostiek en therapie). Nieuwe ontwikkelingen zullen gevolgd worden, bijvoorbeeld naar aanleiding van de vorig jaar in het Nieuwsbulletin al gesignaleerde onderzoeksresultaten op het gebied van de stamcellen. Ook nieuwe bevindingen in de gentherapie komen op de agenda van het FBG, zoals het onderzoek in Leiden naar een therapie voor de ziekte van Duchenne. Het is voorts aannemelijk dat in het FBG overlegd zal worden over de ontwikkelingen op het gebied van de integrale zorg en de biobanken.

Nieuws

Biofarmind / Dutch Vaccines Group

Op de BIO Convention 2009 te Atlanta zal een door de Nederlandse overheid ondersteund Holland Paviljoen worden gerealiseerd. Onder de titel 'Integrated Life Sciences Innovation' zal Nederland worden gepromoot als zakenpartner, als vestigingsland en als een aantrekkelijke optie voor de kenniswerkers in deze sector.

Erfocentrum De Tweede Kamer heeft een amendement aangenomen, waardoor het Erfocentrum in 2009 zijn activiteiten kan voorzetten. Het centrum overlegt met het ministerie van VWS over de organisatie van de preconceptiezorg.

Gezondheidsraad Het versterken van het onderzoek in de synthetische biologie biedt goede kansen voor de Nederlandse kenniseconomie, aldus een in september 2008 aan de minister van Onderwijs, Cultuur en Wetenschap gezonden advies van de Gezondheidsraad, de Raad voor Gezondheidsonderzoek en de Koninklijke Nederlandse Akademie van Wetenschappen. In het najaar van 2009 zal een nieuwe rapportage Trendanalyse Biotechnologie verschijnen. De Gezondheidsraad werkt daartoe samen met de Commissie Genetische Modificatie en de Commissie Biotechnologie bij Dieren.

KNAW De KNAW heeft in 2008 haar tweehonderdjarig bestaan gevierd met onder andere symposia en evenementen. Voor het in 2008 uitgebrachte advies Synthetische biologie, zie Gezondheidsraad. In 2009 starten KNAW en NWO in samenwerking met Chinese ministeries en academies een nieuw onderzoeksprogramma getiteld het Joint Scientific Thematic Research Programme waarvoor de eerste call for proposals naar verwachting in het voorjaar van 2009 wordt gepubliceerd.

NACG/G De Nederlandse Associatie voor Community Genetics en Public Health Genomics heeft in november een bijeenkomst belegd over bevolkingsonderzoek waarin onder andere de hielprik, direct-to-consumer testing en risicobeleving aan de orde kwamen. Een citaat: Er zijn gerichte initiatieven nodig om te zorgen dat hiaten in de kennis worden opgevuld en dat werkelijk zinvolle screening er ook echt komt.

Nefarma Het vierde Glazen Zaal Debat dat Nefarma heeft georganiseerd had als onderwerp de relaties tussen patiëntenorganisaties en farmaceutische bedrijven. Deelnemers noemden voor- en nadelen en wezen op het belang van transparantie.

NVHG (voorheen NAV)

De Nederlandse Vereniging voor Humane Genetica heeft in haar najaarsvergadering de genetische aspecten van veroudering besproken. In maart is de Genetica Retraite Rolduc gepland.

RIVM In opdracht van het RIVM/Centrum voor Bevolkingsonderzoek is door TNO-Kwaliteit van Leven de uitbreiding van de neonatale screening onderzocht. In 2007 zijn 120 extra baby's met ernstige aandoeningen opgespoord, op een totaal van 194 via de hielprik gevonden kinderen (60 sikkelcelziekte of

een andere ernstige bloedaandoening, 70 een stofwisselingsziekte, 57 een aandoening aan de schildklier en 7 een aandoening aan de bijnieren). De resultaten van de CHOPIN studie (Cystic fibrosis Hielprik Onderzoek bij Pasgeborenen In Nederland) worden in het voorjaar van 2009 verwacht.

RVZ De Raad voor de Volksgezondheid en Zorg heeft geadviseerd over bevolkingsonderzoek, zie Gezondheidsraad.

Stuurgroep Weesgeneesmiddelen

Omdat mensen met een zeldzame aandoening nog te vaak buiten de boot vallen, heeft de stuurgroep in 2008 een Zeldzame ziekte dag uitgeroepen (29 februari). In 2009 valt de Internationale dag voor zeldzame ziekten op 28 februari. In Europees verband werd overlegd over weesgeneesmiddelen, onder andere in de 9th EPPOSI Workshop on Partnering for Rare Disease Therapy Development. Voor EU-onderzoeksprogramma's op het gebied van zeldzame aandoeningen, zie ZonMw.

VKGN De Vereniging Klinische Genetica Nederland heeft prof dr MF Niermeijer, prof dr FA Beemer en prof dr BCJ Hamel benoemd tot (eerste) ereleden van de vereniging.

VSOP De patiëntenorganisatie VSOP heeft in samenwerking met de Vereniging Volwassenen en Kinderen met Stofwisselingsziekten (VKS) en met subsidie van het Fonds PGO brochures uitgegeven getiteld 'Handleiding voor zorgstandaarden voor zeldzame aandoeningen' en 'Wegwijzer voor expertteams voor zeldzame aandoeningen'. Door de Stichting Preconceptiezorg Nederland is in samenwerking met de VSOP het eerste Nationale Congres Preconceptiezorg georganiseerd.

VWS De minister van VWS heeft in 2008 in de kaderbrief screening gereageerd op de adviezen van de Gezondheidsraad en de Raad voor de Volksgezondheid en Zorg. Kernpunten zijn het recht op autonomie van de burger om zelf te kunnen kiezen voor screening en de bescherming van diezelfde burger tegen de risico's van screening. De looptijd van het FBG is verlengd tot en met 2011.

ZonMw In samenwerking met de Stuurgroep Weesgeneesmiddelen is ZonMw partner in het Europese ERA-Net project over onderzoeksprogramma's op het vlak van zeldzame aandoeningen (E-Rare).