



Op 8 juni 2018 hebben Kathelijn Fischer en Mariette Driessens namens HemoNED deelgenomen aan de workshop 'Haemophilia Registries' georganiseerd door het Europees Geneesmiddelenbureau (EMA). Op [de Engelstalige webpagina van de EMA](#) vindt u binnenkort een rapportage van deze workshop.

In de workshop is besproken hoe nationale registers op een goede manier en in overeenstemming met *de herziene richtlijn over het klinisch onderzoek van recombinante en humaan plasma factor VIII-producten* ([link](#)) kunnen worden gerealiseerd. De autoriteiten willen namelijk PUP-studies (*previously untreated patient – de baby's met hemofilie*) en postmarketing studies vervangen door gegevens van registers. Het is aangetoond dat de informatie even betrouwbaar verzameld wordt, maar naar verwachting via registers sneller beschikbaar is voor de patiënten en behandelaars. Een bijkomend voordeel is het voorkómen van de aanzienlijke belasting die PUP studies meebrengen voor patiëntjes en hun ouders, de behandelaars én de farmaceutische bedrijven.

Het verzamelen van gegevens door middel van nationale registers is belangrijk, omdat hiermee de normale behandeling van hemofilie over een langere periode kan worden gemonitord en het gebruik van nieuwe producten (zoals gePEGylerde producten, monoklonale antilichamen en gentherapieën) kan worden geëvalueerd.

Een van de uitkomsten van de workshop was dat er een Europees platform moet komen waar gegevens uit diverse nationale registers verzameld en geanalyseerd worden. Dit is een ingewikkeld proces en vereist nog een hoop inspanningen van allerlei partijen, zowel in Nederland als de rest van Europa. Wij houden u op de hoogte van de vervolgstappen.

Vanuit de EMA waren aanwezig de voorzitter en leden van het Farmacovigilantie team, de voorzitters van diverse comités, namelijk de PRAC (geneesmiddelenbewaking), PDCO (kinderen) en CAT (gentherapie).

De Europese Commissie presenteerde het Platform voor registers voor zeldzame ziekten dat het delen van data gaat vergemakkelijken.

Vanuit de hemofilie-organisaties waren personen van het Europese registers PedNET, het Europese Farmacovigilantie register EUHASS, diverse nationale registers (Italië, Frankrijk, Nederland, Oostenrijk en Engeland), alsook vanuit de Europese (EHC) en internationale (WFH) patiëntenorganisaties, en de verenigingen van behandelaren (EAHAD en de EHA) aanwezig.

Ook de vertegenwoordigers van alle betrokken farmaceutische bedrijven en een aantal (vergoedings)autoriteiten (waaronder de Nederlandse) namen deel. Alle belanghebbenden waren dus aanwezig om te bekijken hoe dit ingericht kan worden.

De hemofilie is het vierde ziektebeeld waarvoor de EMA initiatief neemt op het gebied van Europese registers, na Multiple Sclerose, Taaislijmziekte en bloedkanker (voor de nieuwe cel- & gentherapie, de CAR T cellen).