

## Sneller en beter van lab naar patiënt

De life sciences-sector maar haar belofte waar. Patiënten krijgen dankzij onze baanbrekende nieuwe behandelmethoden als immunotherapie en genterapie nieuw levensperspectief. Maar ondanks dat mooie resultaat, laat de manier waarop we innovaties ontwikkelen op alle fronten te wensen over. We maken ons zorgen of de innovaties waar we aan werken, hun doel, de patiënt, nog wel zullen bereiken. Waar in andere sectoren de Wet van Moore geldt, lijkt in de life sciences het omgekeerde te gebeuren. Het ontwikkeltraject van geneesmiddelen duurt te lang, is te risicovol en te kostbaar. Dat staat onze ambitie om elke patiënt van een effectieve behandeling te voorzien in de weg. Het moet sneller, en het moet beter.

### Effectieve oplossingen: gezondheid, betaalbaarheid en innovatie hand in hand

HollandBIO is ervan overtuigd dat de oplossingen die het pad van lab naar patiënt effenen, de oplossingen zijn waar we op in moeten zetten. Dat zijn namelijk de oplossingen waarbij gezondheid, betaalbaarheid en innovatie hand in hand gaan.

Met het Sneller, Beter! Programma werkt HollandBIO samen met de koplopers in de life sciences uit wat er nodig is om de oplossing te realiseren en stellen we een plan van aanpak op voor implementatie. Op dit moment werken we aan de volgende Sneller, Beter! projecten:

- **Patiëntenperspectief in de lead**  
Patientenparticipatie is van grote toegevoegde waarde in elke fase van therapieontwikkeling en HollandBIO stimuleert dit dan ook. De eerste stap is de publicatie van het Patient Engagement GuideBook, waarmee HollandBIO bedrijven nuttige (praktische) handvatten biedt om het patiëntenperspectief in hun bedrijfsvoering centraal te stellen.
- **Orphan Drugs: eerste stap op weg naar personalised medicines**  
Het systeem voor ontwikkeling, registratie en vergoeding van medische innovaties kraakt in zijn voegen en patiënten met een zeldzame ziekte zijn als eerste de dupe. De toegang tot effectieve (geregistreerde!) weesgeneesmiddelen stagneert. Als we deze kleine groepen patiënten al geen behandeling kunnen bieden, blijft individuele therapie voorlopig nog een utopie. Een eerste stap richting zorg op maat, of personalised medicines, is dan ook het uitwerken en realiseren van oplossingen voor de ontwikkeling van en duurzame toegang tot weesgeneesmiddelen.
- **Slimmer testen is meer weten**  
De snelle ontwikkelingen van technologie om groepen of zelfs individuele ziektebeelden in silico of in vitro na te bootsen, en -omics om alle mogelijke aspecten van individuele ziekte te meten, bieden enorme potentie om zowel therapieontwikkeling als -toediening flink te versnellen en verbeteren. Denk aan 3D-*in vitro* modellen zoals organoids, (whole genome) sequencing, gene signatures etc. Door veel natuurgetrouwere tests en dus meer betrouwbare testresultaten kunnen we in vroege fase van geneesmiddelenontwikkeling vaststellen of een therapie-in spé doet wat het beoogt te doen, en met welke neveneffecten. Ook de klinische praktijk krijgt een boost, doordat de nieuwste technologie het mogelijk maakt *in vitro* te bepalen of een behandeling zal aanslaan bij patiënten.
- **Adaptive ecosystems**  
Op het internationale registratieniveau zijn er al diverse initiatieven om meer maatwerk te bieden voor de nieuwste generaties geneesmiddelen en therapieën. Het nationale traject voor vergoeding blijft helaas achter. De patiëntentoeegang loopt hierdoor in het laatste stadium vertraging op en steeds vaker spaak. Een systeem waarbij vergoedingstrajecten beter aansluiten op de verschillende registratietrajecten, moet dit probleem verhelpen.
- **Innovatieve prijsmodellen**  
Bij een innovatieve sector horen innovatieve prijsmodellen. Denk aan leaseconstructies voor genterapie, één bedrag voor behandeling van de hele populatie, pay-for-performance modellen en flexibele prijsstelling bij voorwaardelijke toelating. Op individuele basis kan ervaring worden opgedaan om tot nieuwe financieringsmodellen te komen.