

15 juli 2024

Patiënten met primaire immunodeficiënties moeten toegang hebben tot veilige, doeltreffende en hoogwaardige immunoglobulinetherapieën

Primaire immunodeficiënties (PID's) vormen een grote groep van meer dan 480 zeldzame en chronische genetische aandoeningen waarbij het immuunsysteem niet goed of helemaal niet werkt. Mensen met PID's zijn vatbaar voor ernstige en terugkerende infecties, auto-immuunziekten en ontregelde ontstekingsreacties.

Wanneer PID's niet gediagnosticeerd worden of verkeerd gediagnosticeerd worden, kan het defecte immuunsysteem leiden tot ziekte, invaliditeit, permanent orgaanschade en zelfs de dood. Ongeveer 60% van de patiënten met een PID hebben hun hele leven lang immunoglobuline vervangingstherapieën (Igs) nodig om de niveaus van antilichamen boven een geschikte drempel te houden om levensbeperkende of levensbedreigende infecties te bestrijden. Patiënten met PIDs hebben geen alternatieve behandelopties.

Immunoglobuline vervangingstherapieën zijn plasma-afgeleide geneesmiddelen van die gezonde donoren eisen om hun plasma te geven, ofwel via plasmaferese of vanuit een bloeddonatie, voor de ontwikkeling van deze medicijnen. Omdat Ig-behandelingsproducten afkomstig zijn uit menselijk bloed, is het erg belangrijk om ervoor te zorgen dat producten die overwogen worden voor gebruik veilig en vrij zijn van infectie door bloed overgedragen pathogenen. De combinatie van passende donorselectieprocedures, screening met de huidige generatie standaard serologische tests en de fractionering van de medicijnen door de huidige productieprocessen, met aandacht voor goede productiepraktijken, zorgen ervoor dat Igs goede en veilige therapeutische producten zijn. Ig-therapieën worden bereid uit grote pools van plasma verkregen van duizenden gezonde donoren, wat garandeert dat de diversiteit van het immunoglobuline-repertoire verder gaat dan dat van een individu, waardoor de patiënt een breed spectrum aan antilichamen krijgt tegen specifieke pathogenen die in de algemene bevolking voorkomen.

Een robuust regelgevend kader is hiertoe cruciaal. Als zodanig is het van wezenlijk belang dat nationale regelgevende instanties, verantwoordelijk voor de vergunningverlening, regulering en controle van geneesmiddelen ervoor zorgen dat de geneesmiddelen onder hun toezicht voldoen aan het vereiste niveau van veiligheid, werkzaamheid en kwaliteit om op de markt te worden gebracht. Om een product correct te beoordelen moeten nationale regelgevende autoriteiten informatie hebben over:

- De veiligheid en de kwaliteit van het ruwe plasma materiaal: de veiligheid van het ruwe materiaal kan alleen worden gegarandeerd door middel van de fractioneerder die gebruikmaakt van leveranciers die risicovolle donoren uitsluiten en virale screeningstests van goede kwaliteit gebruiken.
- Het productieproces, inclusief: productiestappen en gerelateerde controles; virale inactivatie- en/of verwijderingsstappen, procesconsistentie en specificaties voor partijvrijgave.
- Over het eindproduct, inclusief: de werkzaamheid van het product en houdbaarheid, andere markten waar het product beschikbaar is, een productgeschiedenis en de klinische studies die de effectiviteit van het product aantonen.

De realiteit van de beschikbare middelen voor verschillende landen wat betreft regelgevende capaciteit op het gebied van plasma-afgeleide geneesmiddelen varieert sterk. Ondanks de verschillen, zouden regelgevende instanties in landen zonder vastgestelde regelingen voor regulering van plasmaproducten ervoor moeten zorgen dat de veiligheid en kwaliteit van plasmaproducten worden gegarandeerd door:

- Allianties te vormen met soortgelijke nationale reguleringsinstanties.
- Direct samen te werken met fabrikanten, niet via tussenpersonen of agenten
- Te overwegende om producten als eerste te overwegen die zijn gelicentieerd door gevestigde nationale regelgevende instanties.
- Het opzetten van regelingen voor preselectie en audit van leveranciers.
- De focus leggen op bewijs van plasmakwaliteit en veilige fabricage in plaats van op het testen van het eindproduct.
- Raadplegen met onafhankelijke instellingen en experts.

Immunoglobulinen zijn biologische geneesmiddelen, waarvan de eigenschappen afhankelijk zijn van de individuele productieprocessen die worden gebruikt om ze te genereren. Als zodanig kunnen immunoglobulinen niet worden beschouwd als generieke geneesmiddelen, waarvan de eigenschappen tussen het ene merkproduct en het andere kunnen worden overgebracht. Met biologische producten geldt "het proces is het product" en elk product moet worden getest op de effecten op patiënten voordat het wordt goedgekeurd voor algemene marketing.

Immunoglobulines zijn levensreddende producten voor patiënten met PID's en vele andere aandoeningen. Het is dus cruciaal dat deze essentiële medicijnen een streng fabricageproces volgen en solide regelgevend toezicht hebben dat rekening houdt met en gebruikmaakt van goed gevestigde regelgevingsprincipes om ervoor te zorgen dat ze veilig, doeltreffend en van goede kwaliteit voor de patiënten die ze bedoeld zijn te behandelen. Een IPOPI Gids voor gebruikers, beoordelaars en financiers over de veiligheid en doeltreffendheid van immunoglobulinetherapieën voor primaire immuundeficiënties is beschikbaar op de IPOPI-website (www.ipopi.org).

IPOPI: De International Patient Organisation for Primary Immunodeficiencies (IPOPI) is een non-profit Internationale organisatie gericht om awareness te verbeteren, toegang te verschaffen tot vroege diagnose en optimale behandelingen voor primaire immuundeficiënties (PID) wereldwijd. Meer informatie: www.ipopi.org.

SAS: De Stichting voor Afweerstoornissen (SAS) is de Nederlandse patiëntenvereniging voor primaire immuundeficiënties en is een non-profit organisatie gericht op het informeren en verbinden van patiënten, het verbeteren van bewustwording en zorgdragen dat iedereen gelijke kansen krijgt om toegang te hebben tot behandeling welke leidt tot een verbetering van kwaliteit van leven. Meer informatie: www.stichtingvoorafweerstoornissen.nl