

Standpunt Off-Label Use geneesmiddelen

Definitie Off-Label Use geneesmiddelen

Off Label Use (OLU) is het voorschrijven of toepassen van een in Nederland geregistreerd geneesmiddel buiten de termen van de officiële, geregistreerde productinformatie: de Summary of Product Characteristics (SmPC).

De SmPC en de daarvan afgeleide tekst in de patiëntenbijsluiters geeft een beschrijving van:

- a. De therapeutische indicatie
- b. Contra-indicaties en waarschuwingen
- c. De patiëntencategorie, bijvoorbeeld de leeftijd.

Uitgangspunten:

1. In Nederland worden in beginsel alleen geregistreerde geneesmiddelen voorgeschreven. In de praktijk kan het gebruik echter niet beperkt blijven tot de indicaties en de patiënten die specifiek in het label genoemd worden. Daarom komt ook in Nederland OLU voor.
2. Geneesmiddelengebruik wordt alleen vergoed als dit 'naar stand der wetenschap en praktijk' wordt ingezet, als sprake is van een behandeling van een zeldzame aandoening of als er geen andere alternatieven voorhanden zijn. Het probleem hierbij is dat de geregistreerde indicatie verouderd en niet zelden tientallen jaren oud is. Soms wordt een geneesmiddel zelfs niet meer voor de oorspronkelijke indicatie gebruikt.
(Voorbeeld: Thioguanine voor kinderleukemie wordt nu uitsluitend nog OLU toegepast bij inflammatoire darmziekten)
3. OLU maakt onlosmakelijk deel uit van de medische zorg in Nederland en is toegestaan mits hierover binnen de beroepsgroep richtlijnen, protocollen of standaarden zijn ontwikkeld.
4. OLU maakt innovatie van geneesmiddelen mogelijk, bijvoorbeeld wanneer bestaande behandelingen falen. OLU staat vaak aan de basis van innovatieve onderzoek ideeën, bijvoorbeeld in het kader van 'drug repurposing'.
5. OLU is soms de enige beschikbare behandeling voor patiënten met zeldzame of therapie-refractaire ziektes.
6. OLU is soms noodzakelijk door gebrek aan geregistreerde middelen zoals in de kindergeneeskunde.
7. Het ontwikkelen en registreren van een nieuwe toepassing van een bestaand geneesmiddel (OLU-indicatie) is een complexe, langdurige en zeer kostbare procedure die bekend staat onder de naam 'Drug Rediscovery'. Grootste probleem is dat het octrooi van lang geleden geregistreerde middelen meestal verlopen is en er geen octrooibeschermting bestaat voor een nieuw label. Dit maakt het voor farmaceutische bedrijven niet interessant hierin te investeren. Bovendien wordt het middel soms al op grote schaal voorgeschreven door de beroepsgroep. Het is soms zelfs de voorkeursbehandeling. In 2012 is door ZonMw het rapport '*Stimulering van Drug Rediscovery: Naar een handelsvergunning voor nieuwe toepassingen van bestaande geneesmiddelen*' gepubliceerd. Hierin wordt exact beschreven wat de problemen zijn en welke oplossingen hiervoor aangedragen kunnen worden.

Standpunt Off-Label Use geneesmiddelen

Voor verantwoord gebruik van Off-Label Use (OLU) geneesmiddelen is een omschrijving in een standaard of richtlijn van de beroepsgroep noodzakelijk. Met opname in een door de wetenschappelijke vereniging(en) geratificeerde richtlijn, ontstaat er in feite een nieuwe (niet-officiële) maar wel valide indicatie voor een medicament. Op grond van deze visie zou men kunnen spreken van een 'user label' naast het bestaande 'originator label' in de Summary of Product Characteristics (SmPC).

Een 'user label' is complementair aan een 'originator label'. Beide labels zouden dan ook een vergelijkbare status moeten hebben. 'User labels' moeten erkend worden als gelijkwaardig aan een 'originator label'. Geneesmiddelen met een user label dienen vergoed te worden.

Goedgekeurd door de Raad Kwaliteit van de Federatie Medisch Specialisten op 21 april 2016