

# **Biobanken en patiëntenorganisaties: een (inter)nationaal perspectief**

**Dr. Cees Smit, VSOP/EGAN**

**VCMO, Utrecht, 29 januari 2010**

# Missie VSOP/EGAN

- *'De VSOP wil vanuit het patiëntenperspectief stimuleren dat nieuwe genetische kennis en biomedische toepassingen voor iedereen toegankelijk zijn en optimaal bijdragen aan welzijn en gezondheid van zowel huidige als toekomstige generaties.'*



VSOP

# ALLIANTIE VOOR ERFELIJKHEIDSVRAAGSTUKKEN

**Aangesloten organisaties** ADCA-Vereniging Nederland • SAS - Stichting voor Afweerstoornissen • Vereniging van Allergie Patiënten • Nederlandse Vereniging voor Hereditair Angio-oedeem en Quincke's oedeem • Vereniging Anusatriesie • Belangenvereniging Syndroom van Beckwith-Wiedemann • NVBS - Nederlandse Vereniging van Blinden en Slechtzienden • BVN - Borstkanker Vereniging Nederland • NCFS - Nederlandse Cystic Fibrosis Stichting • Stichting Dariër Patiënten • DEBRA Nederland • SDS - Stichting Down's Syndroom • Nederlandse Vereniging van Dystoniepatiënten • Vereniging van Ehlers-Danlos Patiënten • Vereniging van Patiënten met Erythropoetische Protoporphyrurie • Fabry Support & Informatie Groep Nederland • FODOK - Nederlandse Federatie van Organisaties van Ouders van Dove Kinderen • FOSS - Nederlandse federatie van ouders van slechthorende kinderen en van kinderen met spraak-taalmoeilijkheden • Gaucher Vereniging Nederland • HAND-vereniging • Nederlandse Vereniging van Hemofilie Patiënten • Hemochromatose Vereniging Nederland • Stichting Hernia Diafragmatica • Belangenvereniging Von Hippel-Lindau • Vereniging Ziekte van Hirschsprung • Vereniging van Huntington • Patiëntenvereniging Belangenvereniging Van Kleine Mensen • Nederlandse Klinefelter Vereniging • Vereniging Oudergroep Klompvoetjes • LAPOSA - Landelijke Patiënten- en Oudervereniging voor Schedel- en Aangezichtsafwijkingen • Nederlandse Leverpatiënten Vereniging • Vereniging voor mensen met het 'Van Lohuizen syndroom' • Macula Degeneratie Vereniging • Contactgroep Marfan Nederland • Stichting MRK-vrouwen (Mayer-Rokitansky-Kuster syndroom) • Belangengroep M.E.N. • Vereniging Morquio • NeuroFibromatose Vereniging Nederland • Stichting Noonan Syndroom • Nederlandse Obesitas Vereniging • Stichting DOS 'De Ontbrekende Schakel' • OSCAR Holland, multi-etnische stichting voor patiënten en dragers van sikkelcelanemie en thalassemie • Vereniging Osteogenesis Imperfecta • Nederlandse Phenylketonurie Vereniging • Prader-Willi/Angelman Vereniging • Stichting Primaire Ciliaire Dyskinesia Belangengroep • Retina Nederland • Stichting Rubinstein-Taybi Syndroom • Vereniging van Scoliosepatiënten • Stichting Shwachman Syndroom Support Holland • VOKS - Vereniging voor Ouderen en Kinderen met een Slokdarmafsluiting • VSN - Vereniging Spierziekten Nederland • VKS - Volwassenen en Kinderen met Stofwisselingsziekten • Stichting Tubereuze Sclerosis Nederland • Friedrich Wegener Stichting

# Focus EGAN/VSOP

- Zeldzame (wees) ziekten  
(van oorsprong erfelijk/aangeboren)
- Community genetics
- Biomedisch onderzoek

*Ethische, wettelijke en sociale implicaties  
Europese & internationale aspecten*

# Rol van patiëntengroepen

- **Traditioneel: 3 rollen:**

*Voorlichting (brochures, internet)*

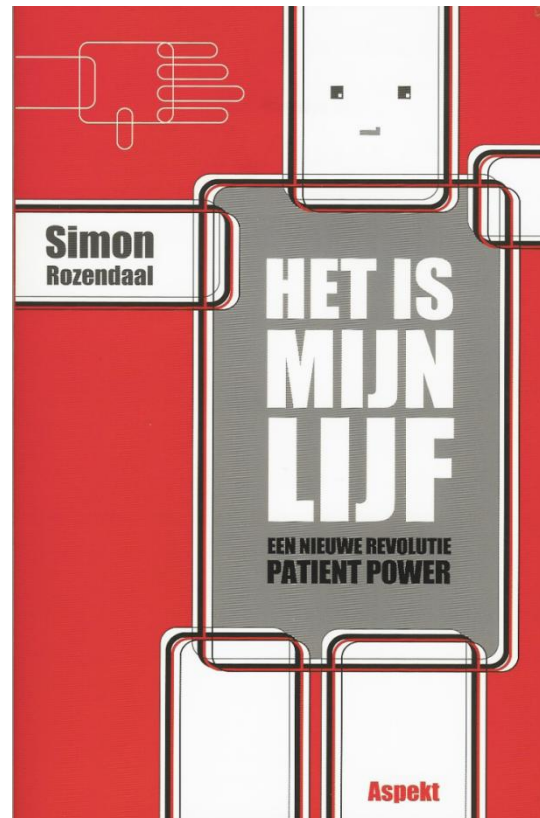
*Lotgenotencontact, zelfhulpgroepen*

*Belangenbehartiging*

- **Nieuwe, 4<sup>e</sup> rol (3<sup>e</sup> partij, vraaggericht)**

*Consultatie & participatie bij onderwerpen als wetenschappelijk onderzoek en beleidsvragen*

# Relevante publicaties



# Patiëntengroepen in Europa

- Veel ziekte-specifieke patiëntengroepen op landelijk niveau ([www.npcf.nl](http://www.npcf.nl))
- Op niveau van de EU, veel ziekte-specifieke koepelorganisaties (EGAN, Eurordis, ECPC)
- Eén EU ziekte-overstijgende patiëntenkoepel: het European Patients' Forum (EPF)
- Meer info: European Patient Directory te bestellen via: [www.patient-view.com](http://www.patient-view.com)

# **Om mee te beginnen**

**Niet vervulde medische behoeften voor  
ernstige en levensbedreigende ziekten**

**zijn de drijvende kracht**

**voor patiëntengroepen om zich bezig te  
houden met het geneesmiddelenonderzoek!**





**Aging**

**with**

**Medical  
and  
psychosocial  
impact**

**haemophilia**

**E.P. MAUSER-BUNSCHOTEN**

**A. DE KNECHT-VAN EEKELEN**

**C. SMIT**

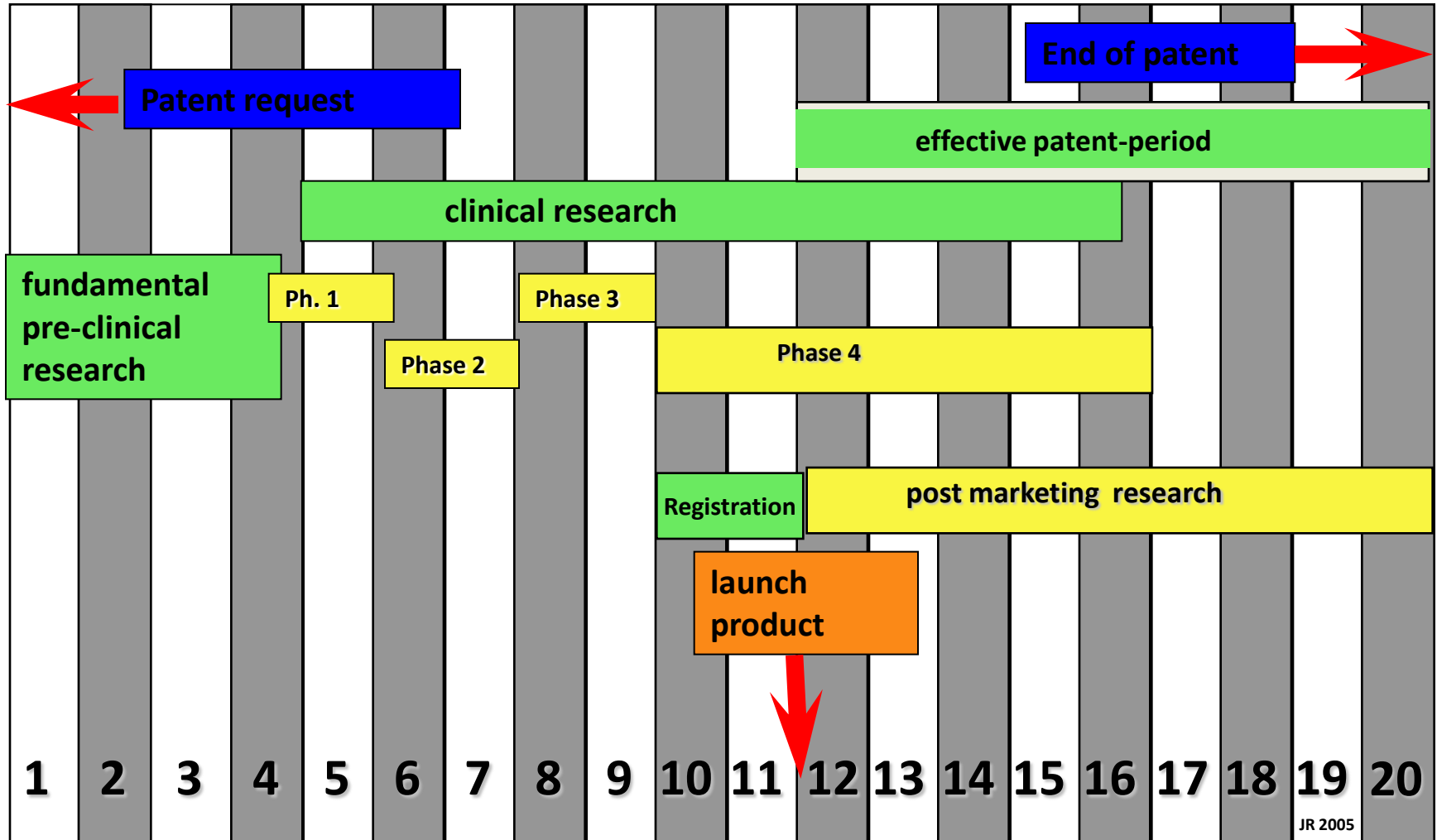


# Oud worden met hiv

GEZONDHEID EN ZIEKTE VAN  
OUDERE HIV-PATIËNTEN:  
EEN INVENTARISATIE

REDACTIE: CEES SMIT, KEES BRINKMAN, KEES RUMKE EN ANNEMARIE DE KNECHT-VAN EEKELN

# Geneesmiddelenonderzoek



Years

Ref: Jan Raaijmakers (2005, UU)

# www.patientpartner-europe.eu

The screenshot shows the PatientPartner website homepage. At the top right, there are links for Home, Sitemap, Contact, and A A A. The PatientPartner logo is on the left. A navigation bar contains links for Home, About PatientPartner, Calendar, The inventory, Workshops, Our network, and Contact. A search box is located in the top right. The main banner features a woman in a white lab coat sitting on a rock, with the text "Identifying the needs of Patients Partnering in Clinical Research". To the right of the banner is a "Latest News" section with two entries: "Join the dialogue of the PatientPartner project" (dated 12/05/2009) and "PatientPartner launches new logo and website" (dated 18/03/2009). Below the banner is a "Newsletter Signup" form with fields for Name and Email address, and buttons for Unsubscribe and Subscribe. The main content area includes the PatientPartner logo, a description of the project, and an invitation to join the dialogue of the PatientPartner project.

Home | Sitemap | Contact | A A A

*PatientPartner*

Home | About PatientPartner | Calendar | The inventory | Workshops | Our network | Contact

Identifying the needs of Patients Partnering in Clinical Research

Latest News

- 12/05/2009  
Join the dialogue of the PatientPartner project
- 18/03/2009  
PatientPartner launches new logo and website

Home | Home

SEVENTH FRAMEWORK PROGRAMME

**PatientPartner**

PatientPartner is a project which sets out to promote the role of patient organisations in the clinical trials context.

PatientPartner is based on the belief that involving patient organisations as equal partners at all stages of clinical trials contributes to research that is better adjusted to the real needs of patients.

PatientPartner is a three year project within the 7th Framework program funded by the European Commission. The study will take a close look at the part that patient organisations play and are willing to play in clinical trials and will mainly focus its attention on clinical trials with children, the use of biobanks and ethical issues.

A further description of the PatientPartner project can be found in about PatientPartner.

**INVITATION TO JOIN THE DIALOGUE OF THE PATIENTPARTNER PROJECT**

PatientPartner is hosting its START-UP workshop on June 11th 2009 in Brussels.

Registration is now closed.

Name:

Email address:

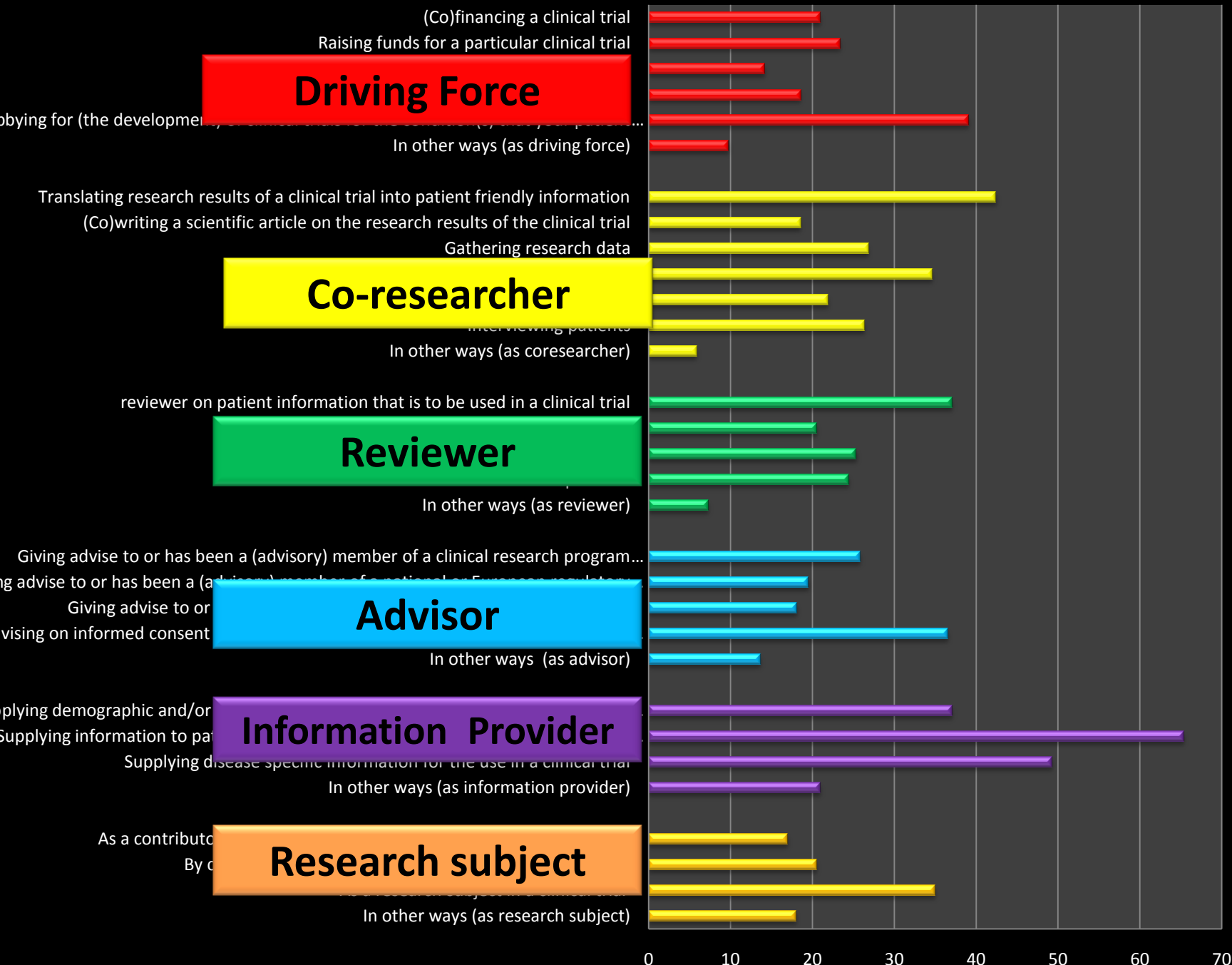
Unsubscribe | Subscribe

# Niveau's van patiëntenparticipatie in klinisch onderzoek

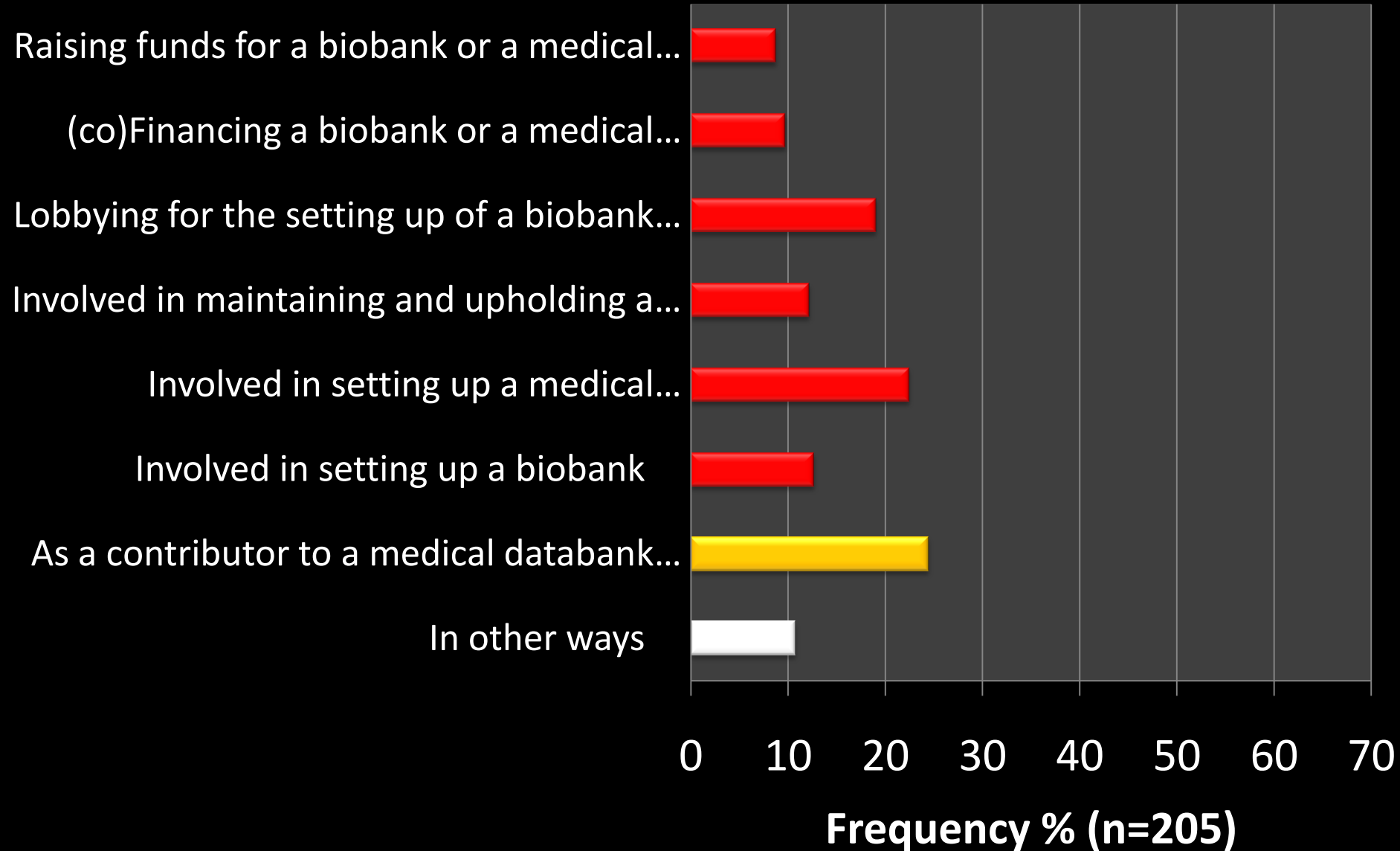
ref: [www.patientpartner-europe.eu](http://www.patientpartner-europe.eu)



# Outcome PatientPartner survey



# Patient involvement in biobanking and medical databanks



# De patiënt als ondernemer: PXE (1)

- Sharon & Patrick Terry, 2 kinderen met PXE
- In 1995 zijn ze onderzoek begonnen naar de oorzaak van PXE en de weg naar behandeling
- Een non-profit onderneming, 52 kantoren
- In 10 jaar materiaal van 2,000 patiënten verzameld en geanalyseerd (UvA)
- Ze hebben het gen 'ABCC6' voor PXE gevonden
- Patent rechten naar PXE International

## De patiënt als ondernemer: PXE (2)

- Ze zijn nu begonnen met de 'Genetic Alliance' in de V.S. voor 7 patiëntengroepen
- Ze financieren 19 labs/wereld en ze hebben hun eigen bloed/tissue bank: The Biobank
- Info: [www.pxe.org](http://www.pxe.org) en [www.biobank.org](http://www.biobank.org)
- Vergelijkbare trends in EU (AFM, Téléthon 2009)



# Genetic Alliance BioBank

Infrastructures for  
Solutions - **NOW!**

[About BioBank](#)

[Members](#)

[Join](#)

[IRB](#)

[Researchers](#)

[Home](#)

Home

Welcome to  
**Genetic Alliance BioBank**

**AN ADVOCACY OWNED REPOSITORY  
FOR BIOLOGICAL SAMPLES AND CLINICAL DATA**



Seldom is it that ordinary people like myself get to participate at any level in extraordinary events. I see donating blood to the BioBank as one of those events.

-- Genetic Alliance  
BioBank Participant

Contact: Sharon F. Terry, President  
Email: [sterry@geneticalliance.org](mailto:sterry@geneticalliance.org)  
Phone: 202.966.5557 x201  
202.362.9599  
Fax: 202.966.8553  
<http://www.gabiobank.org/>

## What's New

- [Advocacy Gets Technical: Genetic Alliance Biobank and Gene Logic Join Forces](#)
- [Executive Summary](#)
- [Genetic Alliance BioBank Launched](#)

>> [More](#)

[Home](#) | [About Us](#) | [Member Area](#) | [IRB](#) | [Researchers](#) | [Join Now](#)

© 2004-2007 BioBank, Inc. All rights reserved.

BioBank 4301 Connecticut Avenue, NW Suite 404 Washington, D.C. 20008-2369 Voice: 202.362.9599

# Duchenne Parent Project

- 1994: ouders wereldwijd besluiten 40 mln \$ in te zamelen voor onderzoek naar Duchenne
- Elizabeth Vroom (NL) belooft 2 mln \$ te verzamelen via het Nederlandse DPP (1998)
- Talentrijke onderzoekster Judith van Beusekom naar de V.S. en terug naar NL (LUMC)
- Exon-skipping project (Prosensa)
- Fase 3-trial in Sweden, Belgium (niet in NL)

# Patiënt-gestuurde biobanken

- Het EuroBioBank network, gecoördineerd door Eurordis, is het 1<sup>e</sup> operationele netwerk van biobanken in Europa, die menselijk DNA, cel- en weefsel materiaal levert als dienst aan de wetenschappelijke wereld die zich met zeldzame ziekten bezighoudt (7.000 ex./jaar)
- De Genethon DNA en Cel Bank is één van de grootste banken voor erfelijkheidsonderzoek in Europa en wordt gerund door AFM (VSN)
- *(Ref.: Technopolis Group, dec. 2009, Paris, BBMRI)*

# Patiënten als actoren: EuroBioBank

- Patiënten zijn niet alleen leveranciers van het biobankmateriaal, maar ze zijn in de 1<sup>e</sup> plaats trendsetters wat betreft:
- Organiseren en leiden verzamelingscampagnes om tot voldoende biobankmateriaal te komen
- Verspreiden gemakkelijk toegankelijk informatiemateriaal over biobanken
- Ze organiseren en onderhouden het netwerk dat nodig is tussen alle betrokken partijen om het onderzoek naar zeldzame ziekten te faciliteren
- *(Ref: Fabrizia Bignami, Eurordis/Paris, Dec. 2009)*

# Een serie FAQ's by EGAN/Roche

- 2010: Personalised Healthcare



# BBMRI Stakeholders' Forum

- [www.bbmri.eu/index.php/stakeholders-forum](http://www.bbmri.eu/index.php/stakeholders-forum)
- Bijeenkomsten in September (Brussel) en December (Paris) 2009
- Ze werken nu aan een 'concept' Basisprincipes voor Patiëntenparticipatie in BBMRI, de nu lopende consultatie eindigt 30 April 2010

# Conclusies

- Patiëntenorganisaties, met name op het terrein van zeldzame en erfelijke afwijkingen, zijn aanjagers van onderzoek (eigen fondsen)
- Enkele van de meest succesvolle biobanken in Europa zijn opgezet en gefinancierd door patiëntengroepen in Frankrijk en Italië
- Patiëntenorganisaties zijn de ambassadeurs bij uitstek om het belang van biobanken naar het algemeen publiek duidelijk te maken

**Voor meer informatie:**

smit.visch@wolmail.nl